

Kliniske Studier

Patienter i lægemiddelforsøg

Patientforeningen for
Lymfekræft, Leukæmi og MDS



Indhold

Introduktion.....	3
Hvorfor være med i et klinisk studie	4
Hvad er et videnskabeligt, klinisk studie?	8
Hvad kræver det at være med som patient?	14
Hvordan kommer man med i et lægemiddelforsøg?	17
Hvad indebærer det at være med i et forsøg?	19
Hvem tager initiativ til et klinisk lægemiddelforsøg?	20
Hvad er Rigshospitalets Fase 1-enhed?	21
Gode råd til patienter i lægemiddelforsøg.....	23

Kliniske studier, der undersøger nye lægemidler, kan give patienter adgang til ny, avanceret behandling og bane vejen for bedre behandlinger i fremtiden.

I denne pjece kan du læse om, hvad kliniske studier er, om det er noget for dig at deltage i sådan et, og om dine muligheder for at blive inkluderet i et forsøg, også kaldet en protokol.

Du kan bl.a. finde svar på:

- Hvad er et klinisk studie, og hvorfor laver man dem?
- Er det relevant for mig at deltage i et klinisk studie?
- Hvordan kommer jeg med i et klinisk studie – en protokol?
- Hvad kan jeg få ud af at være med?
- Hvad skal jeg vide, før jeg deltager?
- Hvilke fordele og ulemper er der ved at deltage i et studie?
- Hvem udfører kliniske studier, og hvor udføres de?

Hvorfor være med i et klinisk studie?

Som blodkræftpatient kan man blive spurgt af sin læge, om man vil deltage i et lægemiddelstudie. Alternativt kan man selv finde og opsøge igangværende studier og snakke med sin læge, om det er noget for en.

Er man kandidat til at medvirke i et studie, vil man kunne opdage en kompleks og ofte vanskeligt forståelig verden med sit eget sprog og egne begreber.

Mange vil føle sig rådvilde og usikre, og begiver man sig ind i det, kan man nemt blive overvældet af store mængder mundtlige og skriftlige materialer.

Umiddelbart er der tre positive grunde til at lade sig indrullere i et studie – og nogle negative – som du også kan finde i det følgende:

1. Adgang til nye lægemidler, der endnu ikke er godkendt i Danmark
2. Mere opmærksomhed, omsorg og tillid – men også mere arbejde
3. For det fælles bedste

Adgang til nye lægemidler, der endnu ikke er godkendt i Danmark

Navnligt én faktor er vigtig, når patienter skal beslutte, om de vil deltage i et studie. Det er muligheden for at få adgang til ny medicin, der endnu ikke er godkendt i Danmark. Medicin, som potentielt virker bedre og har færre bivirkninger end den behandling, man allerede får.

Bagsiden kan være, at behandlingen skuffer – dvs. ikke lever op til forventningerne eller har betydelige bivirkninger.

For nogle kan der også være en psykisk belastning forbundet med at indgå i et studie. Det kan typisk handle om den usikkerhed, der kan være (fx hvordan kroppen reagerer), de uforudsete bivirkninger eller de forventninger, der kan knytte sig til ens deltagelse.

En bagside kan også være de hyppige besøg på klinikken, der kan være tidskrævende og påvirke ens daglige rutiner.

Et særligt motiv for at deltage i et studie er ofte, at den medicin, man allerede får, ikke virker tilfredsstillende eller giver mange bivirkninger.

Det kan også være, at man har en variant – en særlig mutation – af ens blodkræftsygdom, som det hidtil ikke har været muligt at behandle effektivt, og hvor det nyudviklede lægemiddel har vist sig lovende.

Mere opmærksomhed, omsorg og tillid – men også mere arbejde

Siger man ja til at deltage i et studie, vil man opleve en særlig opmærksomhed og omsorg fra læger og sygeplejersker. De har pligt til at vise særlig omhu, når deres patient involveres i et studie. En pligt, der naturligvis altid en vigtig del af sundhedsprofessionelles opgave.

Er man deltager i et studie, vil man derfor kunne opleve at møde mere overvågning (observation) og opmærksomhed i form af flere samtaler med læger og sygeplejersker og ofte også flere besøg på sygehuset. Noget, der for de fleste opfattes som tryghed og omsorg på et tidspunkt i ens liv, hvor der hersker stor usikkerhed.

Som patient (og pårørende) i et lægemiddelforsøg vil man blive stillet over for store mængder skriftlig information.

Nogle patienter har energi og overskud til at sætte sig nøje ind i studiet, men der vil også være mange, der vælger at springe forholdsvis let over dette og sætte deres lid til sundhedspersonalet og den såkaldte videnskabsetiske komité, der har godkendt studiet. At deltage i et studie er i høj grad tillidsbaseret.

Den ene tilgang er ikke bedre end den anden, men de læger, der står for studiet, har pligt til at sørge for at, man har mulighed for selv at sætte sig grundigt ind i studiet, hvis man ønsker det.

Man skal desuden huske, at man har ret til at have en bisidder (fx en pårørende) med sig gennem hele forløbet, ligesom man i øvrigt altid kan træde ud af studiet.

For det fælles bedste

En anden væsentlig ting ved det at deltage i et klinisk studie er, at man på den måde kan bidrage til en udvikling, der har betydning for andre patienter – nuværende eller kommende.

Man stiller sig selv til rådighed for det fælles bedste.

Hvad er et videnskabeligt, klinisk studie?

Ved forsøg med lægemidler bruges forskellige begreber. Der tales om kliniske lægemiddelforsøg, kliniske studier eller simpelthen en protokol.

Ofte vil ordet videnskabeligt indgå, og det er et vigtigt signal om en metodisk tilgang med strenge krav til sikkerhed og evidens – altså med den højeste grad af sikkerhed for, at de resultater, man når frem til, er pålidelige.



Hvornår er det videnskabeligt?

Den videnskabelige metode er en systematisk måde at undersøge fænomener, indsamle ny viden eller korrigere og integrere tidligere viden.

De grundlæggende trin i den videnskabelige metode er:

- **Observation:** Identificerer et problem eller et spørgsmål baseret på observationer af verden omkring os.
- **Hypotese:** Formulerer en hypotese, en mulig forklaring eller løsning på problemet.
- **Eksperiment:** Udfører eksperimenter, der tester hypotesen.
- **Dataindsamling:** Analyserer data fra eksperimenterne.
- **Konklusion:** Drager konklusioner baseret på indsamlet data og afgør, om hypotesen blev bekræftet eller afkræftet.
- **Kvalitetskontrol:** Der skal være en grundig proces, hvor andre eksperter vurderer studiets kvalitet og validitet.

Derudover skal der være defineret etiske principper: Dvs. at studiet skal overholde etiske retningslinjer, som respekterer deltagernes autonomi, sikrer informeret samtykke og beskytter deltagernes rettigheder og velfærd.

Der vil typisk også være et krav om gennemsigtighed: Det vil sige, at der skal være klar og detaljeret rapportering af studiets metode og resultater. Dette inkluderer en præcis beskrivelse af, hvordan data bliver indsamlet og analyseret.

Den videnskabelige metode hjælper forskere med at sikre, at deres resultater er pålidelige og kan gentages af andre.

Planlægning og faser

Et klinisk forsøg (der relaterer sig til medicinsk behandling af patienter eller til praktisk anvendelse af medicinsk viden) med et nyt lægemiddel eller eventuelt kombinationen af to allerede kendte lægemidler gennemføres i forskellige trin:

1. Planlægning og design: Udarbejdelse af en protokol, der beskriver forsøgets mål, design, metoder og statistiske overvejelser.
2. Godkendelse: Indhentning af godkendelser fra relevante myndigheder og etiske komitéer. I Danmark kræves godkendelse fra Lægemiddelstyrelsen og Videnskabsetiske Medicinske Komitéer (VMK).

3. Rekruttering: Udvælgelse og informering af frivillige deltagere, som skal give deres skriftlige samtykke.
4. Gennemførelse: Udførelse af forsøget i henhold til protokollen, herunder administration af lægemidlet og indsamling af data.
5. Analyse og rapportering: Analyse af data og rapportering af resultaterne til myndighederne og videnskabelige tidsskrifter.

Kliniske lægemiddelforsøg gennemføres i flere faser:

Fase I: Stoffet testes på en lille gruppe raske frivillige eller patienter for at vurdere sikkerhed og dosering.

Fase II: Stoffet testes på en større gruppe patienter for at vurdere effektivitet og yderligere sikkerhed.

Fase III: Stoffet testes på en endnu større gruppe patienter for at bekræfte effektivitet, overvåge bivirkninger og sammenligne med standardbehandlinger.

Fase IV: Udføres efter godkendelse for at overvåge langsigtede virkninger og sikkerhed.

At deltage i et klinisk studie som patient kan umiddelbart virke kompliceret, fordi man vil blive meget grundigt informeret om, hvad der skal ske, og hvad det kræver af en.

På den anden side vil man opleve en interesse og en omsorg, som overstiger, hvad man normalt vil kunne forvente, fordi lægerne vil have mere opmærksomhed rettet mod en, og hvordan man har det.

Det er nok nogle af de vigtigste 'for og imod', man vil opleve som patient.



Hvorfor laver man lægemiddelforsøg?

Kliniske lægemiddelforsøg udføres for at sikre, at nye lægemidler er både effektive og sikre for mennesker. Forsøgene spiller en central rolle i udviklingen af moderne medicin.

Her er nogle af de vigtigste grunde til, at man laver kliniske forsøg:

- **Sikkerhed:** For at vurdere, om et nyt lægemiddel er sikkert at bruge, og for at identificere eventuelle bivirkninger.
- **Effektivitet:** For at undersøge, om lægemidlet virker som forventet til behandling af en bestemt sygdom eller tilstand.
- **Dosis:** For at bestemme den optimale dosis, der giver den bedste balance mellem effekt og sikkerhed.
- **Sammenligning:** For at sammenligne det nye lægemiddel med eksisterende behandlinger for at se, om det er mere effektivt eller har færre bivirkninger.
- **Regulatorisk godkendelse:** For at opfylde kravene fra sundhedsmyndighederne, som kræver dokumentation for sikkerhed og effektivitet, før et lægemiddel kan godkendes til markedet.

Hvad kræver det at være med som patient?

Som udgangspunkt er det din hæmatolog, der skal vurdere, om du er egnet til at indgå i et bestemt studie.

For at deltage i et klinisk studie skal man opfylde velbeskrevne inklusionskriterier. Det vil typisk være alder, køn, sygdom, sygdomsstadie, tidligere behandlinger og generel helbredstilstand. Som patient skal man derfor gennemgå en screeningsproces for at sikre, at man opfylder kriterierne.

Deltagelse er frivillig, og patienten skal være grundigt oplyst om studiets formål, procedurer, potentielle risici, og hvem der står bag.

Husk at spørge om, hvad det er for medicin, der indgår i studiet, og hvor godt lægerne kender det specifikke lægemiddel.

Sørg også for, at dine pårørende er velinformerede om, hvad det er, du kommer til at deltage i.





Hvordan kommer man med i et lægemiddelforsøg?

Der er flere veje. Den nemmeste vej er, hvis en læge foreslår at medvirke i et relevant studie, som den afdeling, man er tilknyttet, driver eller tager del i, og som er åben for inklusion.

Det vil ofte komme på tale i en situation, hvor den behandling, man er i, ikke virker tilfredsstillende.

I en sådan situation har man den tryghed, at lægerne på afdelingen har førstehåndsviden om studiet, dets design og formål, og at de kender dig som patient og har indsigt i din sygdom.

Hvis man selv har et ønske om at komme med i et studie, er det altid bedst at spørge sin læge (praktiserende eller en hospitalslæge). Han/hun vil ofte vide, om der er studier i gang, der er relevante.

Hvis der ikke er studier i Danmark, kan det også være en mulighed at blive en del af et europæisk eller amerikansk studie. Geografisk afstand betyder ikke så meget.

Man kan også selv finde hjemmesider fx via Kræftens Bekæmpelse, hvor der er oplistet igangværende, åbne studier, men

man skal være klar over, at det kan være en jungle at bevæge sig ind i.

I øvrigt har Sundhedsstyrelsen et udvalg for eksperimentel behandling. Her skal en henvendelse foregå via ens behandlende hospitalslæge.

Hvis det er relevant, kan den behandlende hospitalslæge søge rådgivning vedrørende en specifik sag hos Sundhedsstyrelsens panel for eksperimentel behandling.

trialnation.dk

Trial Nation er et privat/offentligt samarbejde, der arbejder på at sikre de bedste betingelser for gennemførelse af kliniske forsøg på danske klinikker. En national forsøgsoversigt – en komplet online, opdateret oversigt over aktive kliniske forsøg i Danmark – forventes at være tilgængelig på hjemmesiden i løbet af 2025.

clinicaltrialsregister.eu

Alternativt kan man kigge på EU Clinical Trials Register, der er EU's register over kliniske forsøg.

Hvad indebærer det at være med i et forsøg?

Screening og inklusion: Først vil du gennemgå en screeningsproces for at sikre, at du opfylder forsøgets inklusionskriterier. Dette kan omfatte medicinske undersøgelser og tests.

Informeret samtykke: Du vil modtage detaljeret information om forsøget, herunder formål, procedurer, potentielle risici og fordele. Du skal give dit skriftlige samtykke for at deltage.

Behandling og overvågning:

Under forsøget vil du modtage den eksperimentelle behandling. Det vil som regel indebære regelmæssige besøg på hospitalet, blodprøver, scanninger og andre undersøgelser for at overvåge din tilstand og behandlingens effekt.

Rapportering af bivirkninger: Du skal rapportere eventuelle bivirkninger eller ændringer i din helbredstilstand til forsøgsteamet. Dette er vigtigt for at sikre din sikkerhed og for at evaluere behandlingens sikkerhed.

Opfølgning: Efter forsøget vil der ofte være en opfølgningsperiode, hvor din tilstand fortsat overvåges for at vurdere langtidseffekterne af behandlingen.

Igennem selve behandlingsforløbet skal du som nævnt være indstillet på forholdsvis hyppige besøg på sygehuset for at få taget fx blodprøver.

Det er i det hele taget en god idé at spørge ind til, hvilke gener der kan være forbundet med at deltage.

Hvem tager initiativ til et klinisk lægemiddelforsøg?

Initiativet til kliniske lægemiddelforsøg kan komme fra forskellige aktører, herunder:

Medicinalvirksomheder: De udvikler nye lægemidler og ønsker at teste deres sikkerhed og effektivitet.

Akademiske institutioner:

Universiteter, forskningscentre og offentlige hospitaler kan også initiere forsøg for at undersøge nye behandlinger eller forstå sygdomme bedre.

Offentlige sundhedsorganisationer:

Myndigheder som Lægemiddelstyrelsen kan også spille en rolle i at fremme kliniske forsøg for at sikre, at nye lægemidler er sikre og effektive.

Disse aktører arbejder ofte sammen med etiske komitéer og regulerende myndigheder for at sikre, at forsøgene udføres på en sikker og etisk forsvarlig måde.

Studier initieret af offentlige hospitaler fokuserer ofte på bredere sundhedsproblemer og har en mere patientcentreret tilgang.

Studier fra medicinalvirksomheder kan være mere fokuserede på specifikke lægemidler og har ofte større finansiel støtte.

Hvad er Rigshospitalets Fase 1-enhed?

Rigshospitalets Fase 1-afdeling, også kendt som Fase 1/Forsøgsbehandling, klinik 5011/5013, er en specialiseret enhed, der udfører de tidligste kliniske forsøg med nye kræftlægemidler.

Disse forsøg er afgørende for at teste sikkerheden og den indledende effektivitet af nye behandlinger, før de kan gå videre til senere faser af kliniske forsøg.

Funktioner og formål

Tidlige forsøg: Afdelingen gennemfører de allerførste forsøg med nye

kræftlægemidler, ofte på patienter, der ikke har andre behandlingsmuligheder.

Personaliseret behandling:

Behandlingerne er ofte målrettet den enkelte patients specifikke kræfttype og genetiske profil.

Multidisciplinært samarbejde: Afdelingen arbejder tæt sammen med andre specialiserede enheder, såsom Afdeling for Genomisk Medicin, for at sikre en holistisk tilgang til kræftbehandling.

Patienter og behandlinger

Patienter med meget sjældne kræftformer eller dem, hvor alle dokumenterede behandlinger er afprøvet, kan henvises til Fase 1-afdelingen. Her får de mulighed for at deltage i eksperimentelle behandlinger. Det kan give nye håb og muligheder, men desværre er det ikke garanteret, at den behandling, der gives, virker.

Gode råd til patienter i lægemiddelforsøg:

- Forstå studiet: Læs al tilgængelig information, og stil spørgsmål.
- Vær ærlig: Del alle relevante helbredsoplysninger med forskerne.
- Overvej tidsforpligtelsen: Vær sikker på, at du kan overholde tidsplanen.
- Tal med andre: Diskutér med familie og venner.
- Vær opmærksom på bivirkninger: Rapportér eventuelle bivirkninger straks.
- Hold din læge orienteret: Sørg for, at din primære læge (din praktiserende læge) er informeret.
- Vær tålmodig: Resultaterne kan tage tid.
- Vær åben: Vær åben for at prøve nye ting.
- Søg støtte: Opsøg andre patienter, brug en patientforening som LyLe og dens støttegrupper.
- Vær realistisk: Forstå, at der ikke er garantier for succes.



Bliv medlem af LyLe – fordi vi har brug for hinanden!

Hvert år får ca. 2.400 danskere lymfekræft, leukæmi eller MDS, og i dag lever godt 20.000 danskere med en alvorlig blodkræftsygdom.

LyLe er en patientforening for mennesker, der er ramt af disse sygdomme – direkte som patienter eller indirekte som pårørende.

Læs mere og bliv medlem på lyle.dk

