



Patienten i kliniske lægemiddelforsøg



Lægemiddel
industri
foreningen

Forord

Formålet med denne pjece er at give dig og dine pårørende et bedre grundlag for at beslutte, om I har lyst til at deltage i et lægemiddelforsøg. Pjecen er et supplement til den information, lægen er forpligtet til at give om forsøget.

Inden et nyt lægemiddel kan tages i brug, skal det undersøges grundigt for virkning og eventuelle bivirkninger. Undersøgelserne begynder i laboratoriet og slutter med lovpligtige forsøg på mennesker. Forsøg, hvor mennesker indgår, kaldes for kliniske forsøg. Alle forsøg godkendes og kontrolleres af offentlige myndigheder, hvilket er med til at give deltagerne i forsøgene den bedst mulige sikkerhed.

Det er vigtigt, at patienter har lyst til at deltage i kliniske forsøg – for uden dem kan der ikke udvikles nye og bedre lægemidler. Og nye lægemidler er en forudsætning for at sikre en stadig bedre patientbehandling.

Indhold

Forord	2
Hvad er et klinisk forsøg?	3
Hvorfor udarbejdes et klinisk forsøgsprogram?	3
Hvad får jeg ud af at deltage i et forsøg?	4
Hvilken information har jeg ret til at få?	5
Har jeg rettigheder og forpligtelser?	6
Hvem får information om mig?	7
Hvem beskytter mine interesser, også hvis det går galt?	7
Hvad er lægens pligt?	8
Hvad er lægemiddelfirmaets pligt?	8
Er der penge i det?	9
Hvad sker der, når forsøget er slut?	9
Hvordan udarbejdes et klinisk forsøgsprogram?	10
Hvilke regler gælder for kliniske forsøg?	11

Hvad er et klinisk forsøg?

Et klinisk forsøg er en systematisk indsamling af data vedrørende en behandling. Forsøget foregår med mennesker for at vurdere effekt og sikkerhed af behandlingen.

Ofte vil en ny behandling blive sammenlignet med en allerede eksisterende behandling og/eller med et uvirksomt stof (placebo).

Hvorfor udarbejdes et klinisk forsøgsprogram?

Kun gennem kliniske forsøg opnås bedre behandling af sygdomme.

Kliniske forsøg er en forudsætning for, at Lægemiddelstyrelsen kan godkende et nyt lægemiddel til salg i Danmark. Lægemiddelstyrelsens godkendelse er baseret på den dokumentation, der er indsamlet undervejs i forsøgene. Uden kliniske forsøg, der dokumenterer en tilstrækkelig høj effekt og sikkerhed, vil et lægemiddel derfor ikke blive godkendt til salg.

Der er vedtaget internationale krav til dokumentation for et nyt lægemiddel.

I de kliniske forsøg vises blandt andet, hvordan et menneske optager og udskiller et lægemiddel, og om forhold som alder, køn eller race har betydning for, hvordan lægemidlet virker. Lægerne undersøger også, om virkningen af lægemidlet påvirkes af, om patienten bruger andre lægemidler samtidig. Endelig kan lægerne undersøge, om det nye lægemiddel virker bedre og/eller har færre bivirkninger end allerede eksisterende behandling.

Kun gennem kliniske forsøg opnås videnskabelig dokumentation for nye behandlingsmetoders effekt og sikkerhed.

Hvad får jeg ud af at deltage i et forsøg?

Der kan være fordele, eksempelvis grundigere lægeundersøgelser, men også ulemper forbundet med at deltage i kliniske forsøg, så det kan kræve en ekstra indsats af dig.

Når nye lægemidler udvikles, er det nødvendigt at undersøge deres virkning og bivirkninger i forhold til den sygdom, som skal behandles. For at kunne gøre dette, skal forskerne på forhånd beskrive præcist, hvad de ønsker at undersøge. Beskrivelsen, der kaldes en protokol, udarbejdes af det firma, som laver forsøget i samarbejde med læger, der er eksperter på området. I protokollen beskrives blandt andet, hvilken sygdom forskerne vil undersøge og behandle, hvilke symptomer der skal være til stede eller ej, hvilken anden medicin patienterne må tage, og hvilke undersøgelser der skal udføres.

Du kan blive spurgt, om du vil deltage i et klinisk forsøg, hvis du tilhører netop den gruppe, som er beskrevet i protokollen. Du skal være klar over, at vælger du at deltage i et klinisk forsøg, så indebærer det en ekstra indsats fra din side. Det kan være i form af ekstra klinikbesøg eller ekstra undersøgelser. Din fordel ved at deltage er, at du bliver grundigt undersøgt, og at du bliver nøje overvåget under selve forsøget.

Indimellem er der dog også forsøg, hvor deltagerne ikke selv har nogen umiddelbar fordel af at deltage, men bidrager til at løse en vigtig medicinsk problemstilling. På den måde er deltagerne med til at sikre, at fremtidige patienter med samme sygdom kan få en bedre behandling.

Hvilken information har jeg ret til at få?

Deltagere i kliniske forsøg skal modtage relevant information før, under og efter selve forsøget.

Lægen skal blandt andet grundigt forklare dig, hvilke mulige fordele og ulemper du kan komme til at opleve i løbet af forsøget. Du har mulighed for at stille alle de spørgsmål, du har behov for, før du vælger, om du vil deltage i forsøget.

Lægen skal også fortælle dig:

- Hvor tit du skal komme til undersøgelse.
- Hvad der skal ske ved hver undersøgelse, og hvor lang tid det tager.
- Om der er specielle forhold som for eksempel bestemte tidspunkter, der skal overholdes, eller om du skal møde fastende.
- Om der er ulemper og ubehag forbundet med undersøgelse og rådgive dig om, hvilke fordele og ulemper der er, hvis du vælger at deltage i forsøget.
- Hvordan du skal forholde dig mellem undersøgelse, for eksempel hvilken anden medicin du må tage, om du skal føre dagbog, og hvad du skal gøre, hvis du bliver mere syg eller får bivirkninger af medicinen.
- Om kendte bivirkninger og deres hyppighed.
- Hvordan du skal forholde dig, hvis du rejser til udlandet undervejs i forsøget.

Lægen skal også fortælle dig, at det er frivilligt at deltage, og at du til enhver tid kan trække dig ud af forsøget. Hvis du vælger at udtræde af forsøget, behøver du ikke at begrunde dette, og det får ingen konsekvenser for din nuværende eller fremtidige behandling.

Du får desuden en udførlig skriftlig information, som du får lejlighed til at læse i fred og ro og diskutere med din familie eller bekendte, inden du eventuelt beslutter dig for at deltage i forsøget.

Vælger du at deltage, vil du blive bedt om at underskrive en samtykkeerklæring, som bekræfter din deltagelse i forsøget, og at du har modtaget den nødvendige information, inden du sagde ja til at deltage.

Forsøget kan være af kortere eller længere varighed, afhængigt af hvilken sygdom det drejer sig om. Undervejs i forløbet kan der dukke nye vigtige oplysninger op med betydning for dig som patient og for selve forsøget. I de tilfælde vil lægen, der står for forsøget, informere dig om det.

Har jeg rettigheder og forpligtelser?

Har du valgt at deltage i et klinisk forsøg, har du både rettigheder og forpligtelser.

Du har ret til information. Før du melder dig til et klinisk forsøg, har du krav på at få klar og detaljeret information om forsøget, herunder de fordele og ulemper der er forbundet med at deltage. Ved informationssamtalen er du velkommen til at tage en pårørende eller en ven med.

Du har ret til betænkningstid. Beslutningen om at deltage bør tages efter grundig overvejelse. Det kan være en god idé at drøfte din eventuelle deltagelse med en pårørende eller en ven.

Hvis du vil deltage, skal du give et skriftligt samtykke.

Du skal også skriftligt give myndigheder og repræsentanter fra lægemiddelfirmaet fuldmagt til at få adgang til din patientjournal. Det er nødvendigt for at kunne gennemføre forsøget i henhold til de regler, forsøget skal overholde.

Adgang til din journal vil foregå under fuld fortrolighed, og alle dokumenter, der indeholder information om din identitet, bliver hos lægen.

Du skal desuden følge de instruktioner, som lægen giver om forsøget, herunder komme til de planlagte besøg og undersøgelser, eventuelt få taget blodprøver, give information om eventuel anden medicin du tager samt om andre forhold, der er vigtige for forsøget.

Du har ret til på ethvert tidspunkt at trække dit samtykke tilbage uden begrundelse. Dette vil ikke påvirke din fortsatte behandling af din eventuelle sygdom.

Når hele forsøget er afsluttet, har du ret til at blive orienteret om resultaterne, og hvad du er blevet behandlet med. Afhængigt af forsøgets længde skal du dog være opmærksom på, at der kan gå nogen tid fra din deltagelse er afsluttet, til hele forsøget er slut.

Hvem får information om mig?

Din tilladelse til adgang til din patientjournal er nødvendig, og alle har tavshedspligt.

Når du deltager i et klinisk forsøg, gælder den samme tavshedspligt for dine personlige data, som når du ellers bliver behandlet hos lægen eller på hospitalet. De oplysninger, der indsamles om dig i forbindelse med et forsøg, registreres anonymt i en speciel patientbog. Patientbogen afslører ikke din identitet.

For at sikre kvaliteten af data og overholde reglerne for kliniske forsøg, skal lægemiddelfirmaet kunne sammenligne data i patientbogen med de optegnelser, som lægen har skrevet i din patientjournal. Af denne grund skal du give tilladelse til, at lægemiddelfirmaet og myndighederne kan få adgang til din journal. Det gør du ved at give fuldmagt.

De personer, der får adgang til din journal via din fuldmagt, er alle underlagt tavshedspligt.

Hvem beskytter mine interesser, også hvis det går galt?

Patienternes interesse beskyttes af:

- Lægen
- Lægemiddelfirmaet
- De Videnskabetiske Komitéer
- Lægemiddelstyrelsen
- Datatilsynet

Ved planlægningen af forsøget afvejes risici og fordele nøje. Det skal sikres, at forsøget er vel planlagt og udføres som beskrevet i protokollen og efter reglerne om kliniske forsøg.

Hvis der alligevel skulle opstå uforudsete og skadelige hændelser i forbindelse med forsøget, er du dækket af "Lov om klage- og erstatningsadgang inden for sundhedsvæsenet". Hvis du mener, at lægen har begået fejl, kan du klage til Patientklagenævnet.

Hvad er lægens pligt?

Lægen skal beskytte patientens interesser og sikre, at forsøget er vel tilrettelagt og bliver gennemført korrekt.

Lægen skal først og fremmest beskytte patientens interesser og sikre, at patienten får den optimale behandling.

Lægen skal følge protokollen for forsøget og de love, vejledninger og etiske konventioner, der vedrører lægemiddelforsøg, herunder også rapportere eventuelle

bivirkninger til Lægemiddelstyrelsen og De Videnskabetiske Komitéer.

Lægen skal sikre, at der er en begrundet forventning om, at forsøget kan forbedre en eksisterende behandling enten i form af en bedre virkning eller i form af færre eller mildere bivirkninger.

Lægen skal informere dig grundigt om det planlagte forsøg, både mundtligt og skriftligt, og sikre sig, at du har forstået

denne information. Lægen skal også sørge for, at du har haft tid til at tænke dig om, før du skriver under på fuldmagt og samtykkeerklæring om at deltage i forsøget.

Der er indgået en samarbejdsaftale om kliniske forsøg mellem Lægeforeningen og lægemiddelindustrien. Denne aftale er vedtaget for at beskytte dine rettigheder og sikre høj etik og kvalitet i forsøgene.

Hvad er lægemiddelfirmaets pligt?

Lægemiddelfirmaet skal sikre, at forsøget er nøje planlagt og bliver gennemført korrekt.

I de fleste kliniske forsøg er det et lægemiddelfirma, der står bag. Man taler om, at lægemiddelfirmaet er "sponsor" for forsøget. Gennemføres et forsøg uden et lægemiddelfirmas deltagelse, er det ofte lægen, der fungerer som sponsor. En forskningsfond eller en organisation kan dog også være sponsor.

En sponsor har en række forpligtelser. Sponsor skal sikre:

- At det personale, der er involveret fra sponsor, har den rette uddannelse.
- At de læger, der udfører forsøget, har den rette baggrund, uddannelse, udstyr og personale samt den nødvendige tid.
- At al den viden, man har om det afprøvede lægemiddel, er indsendt til myndighederne til vurdering.
- At nødvendige godkendelser er på plads, før forsøget begynder.
- At al ny viden om lægemidlet løbende bliver sendt til lægen og myndighederne.

- At forsøget forløber korrekt, og at de indsamlede data er i overensstemmelse med lægens notater i patientjournalen.

Sammen med lægen skal sponsor desuden sikre, at bivirkninger, som opdages i forbindelse med forsøget, indberettes til Lægemiddelstyrelsen og det Videnskabetiske Komitéssystem i henhold til lovgivningen. Sponsor skal desuden sørge for, at resultaterne opgøres og præsenteres på en korrekt måde. Alle indsamlede data skal arkiveres på forsvarlig måde i mindst 15 år, så alt kan kontrolleres på et senere tidspunkt, hvis det skulle blive nødvendigt.

Er der penge i det?

Kliniske forsøg koster mange penge, men "der er ingen penge i det".

Gennemførelsen af et klinisk forsøg koster mange penge. De gennemsnitlige udgifter, der er forbundet med udviklingen af et lægemiddel, er ca. 5 milliarder kr. Der er mange mennesker involveret, og forsøgene tager ofte lang tid. Det er som regel lægemiddelfirmaet, der betaler udgifterne, som bl.a. består af udgifter til medicin, omkostninger i forbindelse med godkendelser af forsøget, arbejdskraft, undersøgelser og prøver.

Lægen og hospitalet får dækket alle deres udgifter til forsøget, herunder den arbejdstid de bruger til de forskellige undersøgelser, som forsøget kræver.

I Danmark er det ikke tilladt at betale patienter for at deltage. Herved undgås, at patienter siger ja af økonomiske årsager. I nogle tilfælde er der mulighed for at få udgifter dækket til for eksempel transport. Raske forsøgspersoner kan dog modtage vederlag.

Information til forsøgsdeltagere skal indeholde oplysninger om den eventuelle økonomiske støtte, som lægen modtager fra private virksomheder, fonde mv.

i forbindelse med forsøget. Navne på støttegivere samt støttebeløb for hver af disse skal anføres.

Det skal fremgå, om støtten gives som fast beløb per forsøgsperson eller som en fast sum til hele projektet, samt hvorvidt pengene udbetales til lægen, til dennes afdeling/institut, til en fælles forskningsfond eller andet. Det skal også oplyses, hvad et eventuelt overskydende støttebeløb vil blive brugt til. Endelig skal patientinformationen indeholde oplysninger om, hvorvidt lægen i øvrigt har en økonomisk tilknytning til private virksomheder, fonde mv., som har interesser i det pågældende forsøg.

Hvad sker der, når forsøget er slut?

Du har ret til at vide, hvordan det gik.

Allerede inden du beslutter dig for at deltage i forsøget, bør lægen diskutere med dig, hvordan du skal fortsætte behandlingen, når forsøget er slut. Det kan være, at du skal genoptage den behandling, som du fik inden forsøgets start, måske kan du fortsætte en behandling med det nye lægemiddel, men det kan

også være, at lægen i løbet af forsøget vurderer, at du bør fortsætte med en helt tredje behandling. Det er dog vigtigt, at lægen diskuterer behandlingen med dig, så du er klar over, hvilke muligheder du har, og hvilke fordele og ulemper der er ved de forskellige alternativer.

Mange forsøg udføres dobbeltblindt, hvilket betyder, at hverken du eller lægen

ved, hvilken af de mulige behandlinger du har fået, før forsøget er afsluttet. Først da får lægen at vide, hvad du er blevet behandlet med og kan så skrive det i din journal og informere dig. Senere, når forsøgets resultater foreligger, skal lægen informere dig om det samlede resultat og dets betydning for dig som patient.

Hvordan udarbejdes et klinisk forsøgsprogram?

Et klinisk forsøgsprogram foregår i tæt samarbejde mellem læger, lægemiddelindustri og myndigheder.

Et klinisk forsøgsprogram kan opdeles i fire faser.

I **fase 1** gives lægemidlet til et begrænset antal raske personer. I denne fase undersøger lægerne, hvordan lægemidlet optages i organismen, hvordan det fordeles i de forskellige organer, hvor længe det bliver i organismen og endelig, hvordan kroppen nedbryder og udskiller lægemidlet igen. Efter personerne i fase 1 har fået lægemidlet, undersøges de af en læge. Er resultatet af denne undersøgelse tilfredsstillende, dvs. hvis der ikke konstateres uacceptable bivirkninger, fortsættes den kliniske undersøgelse af lægemidlet med et eller flere fase 2 forsøg.

I **fase 2** gives lægemidlet for første gang til et begrænset antal patienter med den sygdom, lægen forventer, det nye lægemiddel virker mod. Det er altså først i fase 2, at det er muligt at vurdere, om det lægemiddel, forskerne håber at kunne udvikle, har en virkning på selve sygdommen. Hvis resultatet af fase 2 forsøget er tilfredsstillende, dvs. at lægemidlet har en effekt på sygdommen, og der stadigvæk ikke er konstateret uacceptable bivirkninger, fortsættes med fase 3.

I **fase 3** deltager mange patienter, ofte flere tusinde fordelt på mange lande. Behovet for de mange patienter opstår, fordi lægen nu ønsker at dokumentere, at de resultater, der blev fundet i fase 2, også er rigtige og ikke skyldes tilfældigheder eller "held", fordi der kun blev undersøgt et begrænset antal patienter. I fase 3 er der også mulighed for at opdage, om der kommer bivirkninger af mere sjælden karakter.

I **fase 4**, efter registrering og godkendelse hos myndighederne og markedsføring, kan der stadigvæk være behov for at foretage forsøg. Det kan for eksempel vise sig, at det nye lægemiddel også virker mod andre sygdomsområder end dem, som indgik i det oprindelige forskningsprojekt.

Nogle forsøg er blindede, og der anvendes af og til placebo (uvirksom medicin).

Forsøgets resultater er kun interessante, hvis de afspejler behandlingens effekt og ikke deltagernes forventning om en bedring.

I kliniske forsøg sammenlignes ofte to behandlinger.

En ny behandling sammenlignes som oftest med en eksisterende veldokumenteret behandling. Nogle gange er det dog bedst at sammenligne med "ingen behandling". Det afhænger af forsøgets formål og den sygdom, der undersøges.

Hvis du er overbevist om, at den ene behandling vil virke bedre end den anden, så er der også en større chance for, at man registrerer en bedre effekt. Den målbare effekt af en behandling skyldes altså dels selve behandlingen og dels patientens forventning til behandlingen. I kliniske forsøg er man dog kun interesseret i at vurdere effekten af selve behandlingen.

Det er vanskeligt at foretrække én af de to behandlinger, hvis man ikke på forhånd er klar over, hvilken af de to man rent faktisk vil blive behandlet med. På denne måde bliver forventningen "sat ud af spillet", og det målte behandlingsresultat afspejler således udelukkende medicinens effekt. Man taler om, at forsøget er blindet, når hverken læge eller patient ved, hvilken behandling den enkelte patient får. Ved at blinde forsøget - og trække lod mellem de to mulige behandlinger - nedsættes risikoen for, at patientens og lægens forventninger får indflydelse på behandlingsresultatet.

For at kunne sammenligne med "ingen behandling" i et blindet forsøg, er det nødvendigt at bruge placebo, som er et uvirksomt stof. Placebo bliver udformet, så det ikke er muligt at se forskel på denne og den aktive medicin, der undersøges. Placebo anvendes kun, hvis det er forsvarligt i forhold til de deltagende patienters sikkerhed.

Hvilke regler gælder for kliniske forsøg?

Detaljerede regler for kliniske forsøg sikrer deltagernes rettigheder og forsøgets kvalitet.

Den nationale lovgivning styrer den korrekte udførelse af kliniske forsøg og sikrer, at de bliver udført i overensstemmelse med høje etiske og videnskabelige standarder. Derved beskyttes den enkelte patient bedst muligt. Dansk lovgivning for kliniske forsøg er baseret på internationale retningslinjer, som kaldes "God Klinisk Praksis" (GCP, engelsk: Good Clinical Practice). Kliniske forsøg skal udføres efter ensartede principper over hele verden.

Et af hovedprincipperne i GCP er, "at forsøgspersonernes rettigheder, sikkerhed og velvære er de vigtigste faktorer og bør prioriteres højere end videnskabelige og samfundsmæssige principper."

Når forsøget er begyndt, overvåger de samme instanser, som godkendte forsøget (Lægemiddelstyrelsen, Det Videnskabetiske Komitéssystem og Datatilsynet) forsøgsforløbet ved at gennemføre inspektioner hos de læger, der er med i forsøget og hos de involverede lægemiddelfirmaer. Ved disse inspektioner kontrollerer myndighederne, om forsøget gennemføres i henhold til det aftalte og i henhold til GCP, samt hvordan de indhentede data bliver behandlet.

Se flere informationer og henvisninger på Indenrigs- og Sundhedsministeriets hjemmeside, www.im.dk, hvor du også kan finde information om de Videnskabetiske Komitéer. Du kan finde yderligere informationer på Lægemiddelstyrelsens og Datatilsynets hjemmesider www.laegemiddelstyrelsen.dk og www.datatilsynet.dk



Lægemeddel
industri
foreningen

Strødamvej 50A
Postbox 829
2100 København Ø

Tlf. 39 27 60 60
Fax 39 27 60 70

www.lif.dk