UGESKRIFT FOR LÆGER

Statusartikel

Avancerede medicinske terapier

Rasmus Roost Aabling[1, 2, 3], Anne Louise Schacht Revenfeld[4]* & Maria Rusan[3, 5, 6, 7]*

1) Institut for Klinisk Medicin, Comparative Medicine Lab, Aarhus Universitet, 2) Institut for Klinisk Medicin, SDCA-Steno Diabetes Center Aarhus, Aarhus Universitet, 3) Ortopædkirurgisk Afsnit, Center for Planlagt Kirurgi, Regionshospitalet Silkeborg, 4) Center for Gen- og Celleterapi, Blodbank og Immunologi, Aarhus Universitetshospital, 5) Molekylær Medicinsk Afdeling (MOMA), Aarhus Universitetshospital, 6) Klinisk Farmakologi, Aarhus Universitetshospital, 7) Institut for Klinisk Medicin, Aarhus Universitet

Ugeskr Læger 2026;188:V12251027. doi: 10.61409/V12251027

HOVEDBUDSKABER

- Avancerede medicinske terapier er gen-, celle- og vævsbaserede lægemidler.
- Feltet for avancerede medicinske terapier er hurtigt voksende og har markant klinisk potentiale, men implementering er forbundet med logistiske og økonomiske barrierer.
- En national prioritering og tæt samarbejde mellem relevante aktører er vigtig for implementering i klinisk praksis.

De seneste år har avancerede medicinske terapier – såkaldte advanced therapy medicinal products (ATMP) – medført betydelige fremskridt inden for moderne medicin. Drevet af den teknologiske udvikling og øget forståelse for genetiske og molekylære sygdomsmekanismer har ATMP muliggjort nye behandlingsmuligheder. CAR-T-celleterapi har f.eks. revolutioneret behandlingen af visse hæmatologiske kræftformer, og genterapi har for nylig ført til de første godkendelser af potentielt kurativ behandling for seglcelleanæmi [1] og hæmofili B [2].

CRISPR-baseret geneditering har også ført til potentielt kurativ personaliseret eksperimentel behandling for den sjældne og ofte dødelige stofskiftesygdom karbamylfosfatsyntetasedefektmangel [3].

Denne artikel giver et overblik over ATMP-området med særligt fokus på ATMP godkendt af Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA) og diskuterer potentialet og udfordringerne ved implementering i klinisk praksis med henblik på at styrke forståelsen af ATMP i det danske sundhedsvæsen, hvor disse terapier i stigende grad introduceres.

En ny lægemiddelkategori

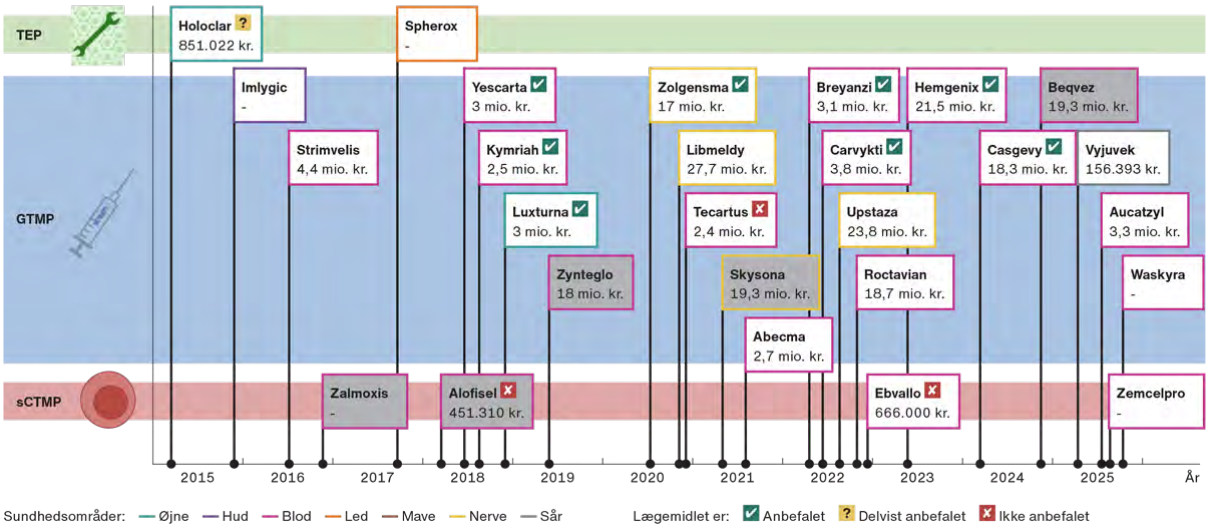
ATMP er lægemidler baseret på gener, celler eller væv, som ofte er målrettet mod den underliggende årsag til sygdommen, der ønskes behandlet. ATMP inddeles af EMA i flere underkategorier, herunder genterapiprodukter (GTMP), somatisk celleterapi-produkter (sCTMP), vævstekniske lægemidler (TEP) og kombinationslægemidler [4].

Det første ATMP blev godkendt i Europa i 2009, og feltet har udviklet sig markant siden. Pr. december 2025 er 22 ATMP godkendt i Europa [5] (**Figur 1**, **Tabel 1**) og 45 i USA [6].

Open Access under Creative Commons License CC BY-NC-ND 4.0

FIGUR 1 Tidslinje over EMA-godkendte avancerede medicinske terapier igennem de seneste ti år. Lægemidlerne er delt i vævstekniske lægemidler (TEP), genterapiprodukter (GTMP) og somatisk celleterapi-produkter (sCTMP) og er ligeledes kategoriseret, inden for hvilke sundhedsområder de udgør en behandling: øjne, hud, blod, led, mave, nerve og sår. For hvert lægemiddel fremgår det specifikke markedsførte navn og listeprisen på en behandling. De endelige priser forhandlet af AMGROS er fortrolige. Ydermere fremgår, om lægemidlet er anbefalet, delvist anbefalet eller ikke anbefalet af Medicinrådet som standardbehandling i Danmark. Lægemidler markeret med gråt er tilbagetrukket fra markedet.

Figuren er udarbejdet i BioRender: Lauridsen H (2026). BioRender.com/bd91sa1.



TABEL 1 Alle ATMP, der er blevet markedsført i EU de seneste ti år i kronologisk rækkefølge.

Markeds-føringsår i EMA	Produkt-navn	Indholdsstof(fer)	ATMP-type	Indikationer	Celletype	Metode til genoverførsel	Transgen, dvs. gen indsat
2015	Holoclar	Ex vivo-ekspanderede auto corneaepitelceller indeholdende stamceller	TEP	Behandling af voksne med moderat til alvorlig limbal stamcellemangel, unilateralt og bilateralt, forårsaget af fysiske eller kemiske okulære forbrændinger	Auto corneaepitel-celler indehol-dende stamceller	-	-
2015	Imlygic	Talimogen laherparepvec	GTMP	Voksne med ikkeresekterbart melanom, der har regionale eller fjernmetastaser (stadie IIIB, IIIC og IVM1a), dog uden knogle-, hjerne-, lunge- eller anden visceral sygdom	-	Onkolytisk HSV-1	GM-CSF
2016	Strimvelis	Auto fraktion af CD34⁺-berigede celler, inde-holdende CD34⁺-celler transduceret med retroviral vektor, kodende for den humane ADA-cDNA-sekvens	GTMP	SCID forårsaget af ADA-mangel hos patienter, til hvem det ikke har været muligt at finde en egnet HLA-matchet beslægtet stamcelledonor	Auto CD34⁺-celler	RV	ADA
2016[a]	Zalmoxis	Nalotimagen carmaleucel	sCTMP	Forebyggelse mod infektioner hos recipienter af haploidentisk hæmatopoietisk stamcelletransplantation hos voksne patienter med hæmatologisk højrisikomalignitet	Allo T-celler	RV	ΔLNGFR og HSV-TK Mut2
2017	Spherox	Spheroider af humane auto matrixassocierede kondrocytter	TEP	Symptomatiske leddbruskdefekter på op til 10 cm^2 i femurkondylen og patella hos voksne og unge med lukket epifyseskive i det berørte led	Auto kondrocytter	-	-
2018[a]	Alofisel	Darvadstrocel	sCTMP	Komplekse perianale fistler hos voksne patienter med inaktiv eller let aktiv luminal Crohns sygdom med utilstrækkeligt respons på mindst én konventionel eller biologisk behandling	Allo fedtderiverede mesenkymale stamceller	-	-
2018	Yescarta	Axicabtagenciloleucel	GTMP	HGBCL og DLBCL, der recidiverer inden for 12 mdr. efter eller er refraktære til førstelinjekemoimmunterapi R/r DLBCL og PMBCL efter ≥ 2 systemiske behandlinger R/r follikulært lymfom efter ≥ 3 systemiske behandlinger	Auto T-celler	RV	Anti-CD19-CAR
2018	Kymriah	Tisagenlecleucel	GTMP	Pædiatriske og unge voksne patienter (≤ 25 år) med r/r B-celle-, akut lymfoblastærleukæmi R/r DLBCL og follikulært lymfom efter ≥ 2 linjer af systemisk behandling	Auto T-celler	LV	Anti-CD19-CAR
2018	Luxturna	Voretigen-neparvovec	GTMP	Synstab som følge af arvelig RPE65-relateret nethinde dystrofi	-	AAV	RPE65
2019[a]	Zynteglo	Betibeglogene autotemcel	GTMP	Behandling af patienter på ≥ 12 år med transfusionsafhængig β-talassæmi, som ikke har en β0/β0-genotype, hvor en hæmatopoietisk stamcelle-transplantation er indiceret, men hvor der ikke kan findes en HLA-matchet donor	Auto CD34⁺-celler	LV	*βT87Q-globin*
2020	Zolgensma	Onasemnogene abeparvovec	GTMP	5q SMA med bialleliske mutationer i *SMN1* og en klinisk diagnose på SMA type 1 eller op til 3 kopier af *SMN2*	-	AAV	SMN
2020	Libmeldy	Atidarsagene autotemcel	GTMP	Metakromatisk leukodystrofi ved bialleliske mutationer i *ARSA* med deraf følgende fald i enzymatisk aktivitet af ARSA	Auto CD34⁺-celler	LV	ARSA
2020	Tecartus	Brexucabtagene autoleucel	GTMP	Voksne patienter med r/r mantlecellelymfom, efter ≥ 2 linjer systemisk behandling, herunder en Brutons tyrosinkinasehæmmer Voksne patienter på ≥ 26 år med r/r B-cellepræcursor-, akut lymfatisk leukæmi	Auto T-celler	RV	Anti-CD19-CAR
2021[a]	Skysona	Elivaldogen autotemcel	GTMP	Tidlig cerebral adrenoleukodystrofi med ABCD1-genmutation førende til ALDP-mangel, hos patienter < 18 år uden en søskendedonor for hæmatopoietisk stamcelle transplantation	Auto CD34⁺-celler	LV	ALDP

Fortsættes >

Open Access under Creative Commons License CC BY-NC-ND 4.0

TABEL 1 FORTSAT Alle ATMP, der er blevet markedsført i EU de seneste ti år i kronologisk rækkefølge.

Markeds-føringsår i EMA	Produkt-navn	Indholdsstof(fer)	ATMP-type	Indikationer	Celletype	Metode til genoverførsel	Transgen, dvs. gen indsat
2021	Abecma	Idecabtagen vicleucel	GTMP	R/r myelomatose, som har modtaget mindst to tidligere behandlinger, herunder et immunmodulerende middel, en proteasomhæmmer og et anti-CD38-antistof og har vist sygdomsprogression ved den sidste behandling	Auto T-celler	LV	Anti-BCMA-CAR
2022	Breyanzi	Lisocabtagene maraleucel	GTMP	DLBCL, HGBCL, PMBCL og grad 3 follikulært lymfom, som har fået recidiv inden for 12 mdr. af eller er refraktær over for førstelinjebehandling med kemoimmunterapi R/r DLBCL, PMBCL, follikulært lymfom eller mantel celle lymfom efter mindst to linjer af systemisk behandling	Auto T-celler	LV	Anti-CD19-CAR
2022	Carvykti	Ciltacabtagene autoleucel	GTMP	R/r myelomatose, som har fået mindst én tidligere terapi, herunder et immunmodulerende middel og en proteasom-hæmmer, og som har udvist sygdomsprogression under den sidste terapi og er refraktær over for lenalidomid	Auto T-celler	LV	Anti-BCMA-CAR
2022	Upstaza	Eladocagen exuparvovec	GTMP	AADC-mangel med svær fænotype	-	AAV	AADC
2022	Roctavian	Valoctocogene roxaparvovec	GTMP	Svær hæmofili A (faktor VIII-mangel), uden faktor VIII-inhibitorer eller antistoffer mod AAV	-	AAV	B-domæne-slettede faktor VIII
2022	Ebvallo	Tabelecleucel	sCTMP	EBV-positiv posttransplantations-lymfoproliferativ sygdom	Allo T-celler	-	-
2023	Hemgenix	Etranacogene dezaparvovec	GTMP	Svær og moderat svær hæmofili B (faktor IX-mangel), uden faktor IX-inhibitorer	-	AAV	Koagulations-faktor IX
2024	Casgevy	Exagamglogen-autotemcel	GTMP	Transfusionsafhængig β-talassæmi og svær seglcelle-sygdom hos patienter ≥ 12 år, der er egnet til hæmatopoietisk stamcelletransplantation, men hvor en HLA-matchet donor ikke er tilgængelig	Auto CD34⁺-celler	CRISPR/Cas9	BCL11A
2024[a]	Beqvez	Fidanacogen elaparvovec	GTMP	Svær og moderat svær hæmofili B, uden faktor IX-inhibitorer eller antistoffer mod AAV	-	AAV	Koagulations-faktor IX
2025	Vyjuvek	Beremagen geperpavec	GTMP	Sårbehandling ved dystrofisk epidermolysis bullosa med mutation(er) i *COL7A1*	-	HSV-1	Type VII-kollagen
2025	Aucatzyl	Obecabtagene autoleucel	GTMP	Voksne patienter i alderen 26 år og derover med r/r B-celleprækursor-, akut lymfoblastær leukæmi	Auto T-celler	LV	Anti-CD19-CAR
2025	Zemcelpro	Allogen navlestrengs-deriverede ikkeekspande-rede CD34-celler med dorocubicel (ekspande-rede CD34+)	sCTMP	Voksne patienter med hæmatologiske maligniteter, der kræver en allo hæmatopoietisk stamcelletransplantation efter myeloablativ konditionering, for hvem der ikke er andre typer egnede donorceller tilgængelige	Allo navlestrengs-deriverede CD34-- og CD34+-celler	-	-
2025	Waskyra	Etuvetidigene autotemcel	GTMP	Patienter på 6 mdr. og derover med WAS, som har en mutation i WAS, for hvem transplantation er hensigtsmæssig, men for hvem der ikke findes en egnet stamcelledonor	Auto CD34⁺-celler	LV	WAS

a) Præparater, der er tilbagetrukket.

AADC = aromatisk L-aminosyredecarboxylase; AAV = adenoassocieret vektor; ADA = adenosindeaminase; ALDP = adrenoleukodystrofiprotein; allo = allogen; ARSA = arylsulfatase A; ATMP = avancerede medicinske terapier; auto = autolog; BCMA = B-cell maturationantigen; CAR = kimær antigenreceptor; Cas9 = CRISPR-associeret protein 9; COL7A1 = kollagentype VII α-1-kæden; CRISPR = clustered regularly interspaced short palindromic repeats; DLBCL = diffust storcellet B-cellelymfom; EBV = Epstein-Barr-virus; EMA = Det Europæiske Lægemiddelagentur; GM-CSF = granulocyte-macrophage colony-stimulating factor; GTMP = genterapiprodukter; HGBCL = high-grade B-cellelymfom; HLA = human leukocytantigen; HSV-1 = herpes simplex-virustype 1; HSV-TK Mut2 = herpes simplex virus-thymidinkinase; LV = lentiviral vektor; r/r = recidiveret eller refraktært; PMBCL = primært medistinalt stortcellet B-cellelymfom; RPE65 = retinal pigmentepitel 65 kDa-protein; RV = retroviral vektor; SCID = svær kombineret immundefekt; sCTMP = somatisk celleterapi-produkter; SMA = spinal muskelatrofi; SMN = survival motor neuron; TEP = vævstekniske lægemidler; WAS = Wiskott-Aldrichs syndrom; ΔLNGFR = human low-affinity nerve growth factor receptor.

Genterapiprodukter

GTMP betegner lægemidler, der indeholder eller består af rekombinante DNA-nukleinsyrer. Behandlingen tilsigter at regulere, erstatte eller ændre en genetisk sekvens. Ofte benyttes virusvektorer til at levere den genetiske information til relevante celler, in vivo eller ex vivo [4]. Kategorien omfatter ikke vacciner såsom mRNA-vacciner.

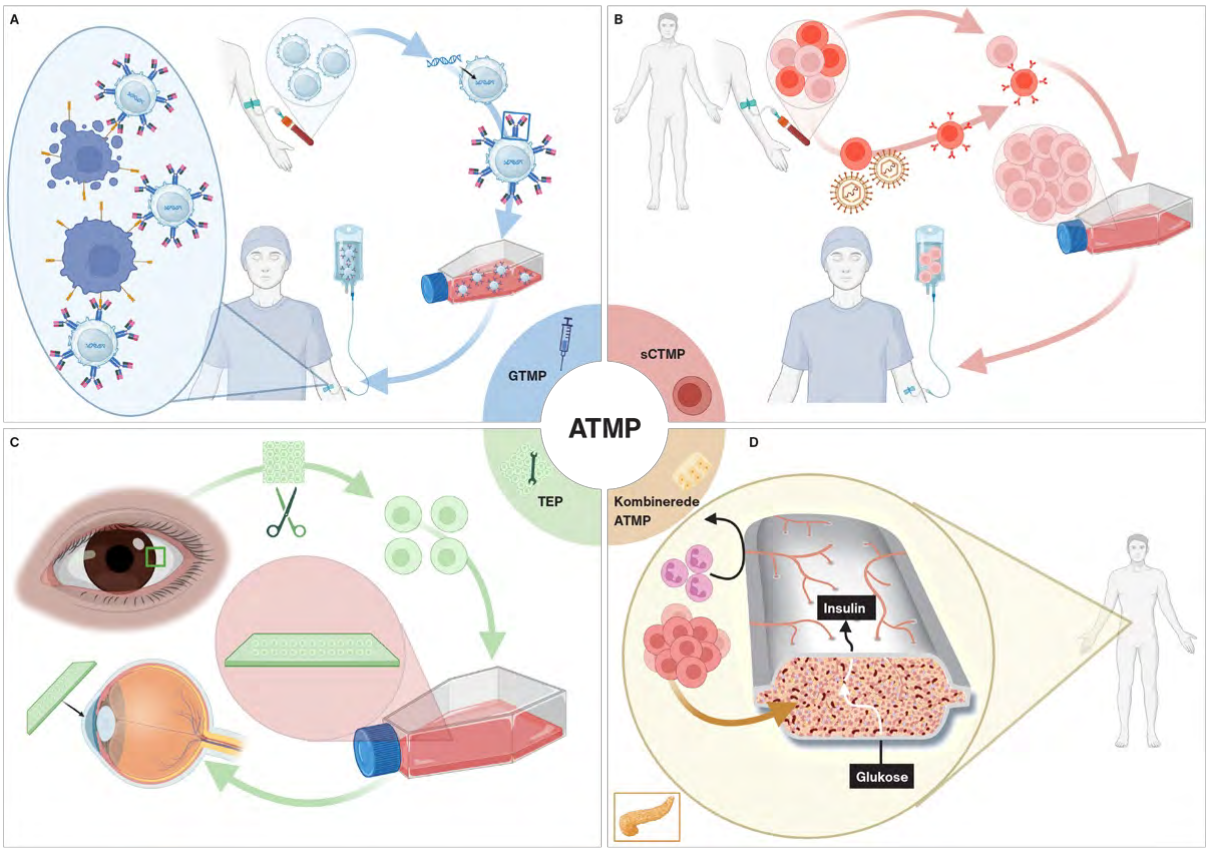
Kimær antigenreceptor (CAR)-T-celler såsom axicabtagenciloleucel (Yescarta) udgør en autolog celleterapi og klassificeres som GTMP, fordi T-cellerne genetisk modificeres ex vivo til at udtrykke en CAR, så disse genkender et protein på kræftcellerne. For Yescarta gælder det CD19, som findes på B-cellers overflade [7] (**Figur 2**). Yescarta er EMA-godkendt til behandling af diffust storcellet B-cellelymfom, high-grade B-cellelymfom, primært mediastinalt storcellet B-cellelymfom og follikulært lymfom. CAR-T-behandling adskiller sig fra mere klassiske genterapier såsom voretigen-neparvovec (Luxturna), hvor genetisk materiale leveres direkte til patientens celler in vivo [8]. Voretigen-neparvovec er godkendt til behandling af børn og voksne med synstab grundet arvelig retinal dystrofi forårsaget af biallelliske loss of function-mutationer i retinalt pigmentepitelspecifikt 65 kilodalton-genet *RPE65*. Lægemidlet er et cDNA for RPE65-proteinet, dvs. den kodende sekvens for proteinet. Når det bliver injiceret i det subretinale rum, bliver det optaget af de retinale pigmentepitelceller, hvori det

Open Access under Creative Commons License CC BY-NC-ND 4.0

bliver udtrykt til det normale humane RPE65-protein.

FIGUR 2 Oversigt over Det Europæiske Lægemiddelagenturs fire kategorier for avancerede medicinske terapier (ATMP). **A**. Genterapiprodukter (GTMP) indeholder eller består af rekombinante DNA-nukleinsyrer og eksemplificeres med kimær antigenreceptor (CAR)-T-celleterapi. CAR-T-celler er patientens egne T-celler, som høstes ved leukaferese og modificeres herefter genetisk i laboratoriet til at udtrykke en CAR, som genkender et specifikt antigen, f.eks. et protein udtrykt af kræftceller. Cellerne administreres derefter tilbage til patienten, hvor de kan bekæmpe kræftcellerne. **B**. Somatisk celleterapi-produkter (sCTMP) er celler eller væv, der er væsentligt manipulerede eller processerede, så deres oprindelige egenskaber ændres eller anvendes til en anden funktion end normalt. Et eksempel på en sCTMP er Ebvallo, der indeholder T-celler fra raske Epstein-Barr-virus (EBV)-positive donorer, der er blevet stimuleret ex vivo med B-celler inficeret med EBV fra samme donorer, hvorefter T-cellerne dyrkes til en stor mængde. Endelig administreres T-cellerne til en patient med EBV-positiv posttransplantations-lymfoproliferativ sygdom, hvor de kan angribe de inficerede B-celler. **C**. Vævstekniske lægemidler (TEP) er også baseret på celler eller væv, men produkterne er beregnet til regeneration. Et eksempel er Holoclar, der indebærer høst af raske limbale celler, inklusive stamceller, fra patienten, hvorefter disse videredyrkes på en fibrinmembran. Membranen bliver kirurgisk implanteret i øjet, hvor cellerne understøtter regenerering af hornhindens overflade. **D**. For kombinerede ATMP, dvs. ATMP integreret med én eller flere komponenter af medicinsk udstyr, findes der endnu ikke et godkendt lægemiddel, men figuren illustrerer en PEC Encap-enhed til behandling af insulinkrævende diabetes, som er afprøvet i kliniske forsøg. Allogene embryonale stamceller, der ex vivo differentieres til pankreatiske endodermceller, indkapsles i en immunbeskyttende enhed. Enheden implanteres subkutant i abdomen, hvor cellerne videreudvikles til insulinproducerende betaceller.

Figuren er udarbejdet i BioRender: Lauridsen H (2026). BioRender.com/2rk80hq.



Somatisk celleterapi-produkter

sCTMP omfatter lægemidler med celler eller væv, der er væsentligt manipuleret eller processeret, dog ikke genmodificeret, så deres oprindelige egenskaber ændres eller anvendes til en anden funktion end normalt [4]. Et eksempel er tabelecleucel (Ebvallo) til behandling af Epstein-Barr-virus (EBV)-positiv posttransplantations-lymfoproliferativ sygdom. Denne »off the shelf«-behandling indeholder T-celler fra raske EBV-positive donorer, stimuleret ex vivo med EBV-inficerede B-celler fra samme donorer. Cellerne er grundigt karakteriserede bl.a. i forhold til allogenicitet, så det mest kompatible produkt kan vælges til den enkelte patient [9] (Figur 2).

Open Access under Creative Commons License CC BY-NC-ND 4.0

Vævstekniske lægemidler

TEP ligner somatiske celleterapier. Den væsentligste forskel er deres tiltænkte funktion. Somatiske celleterapier sigter mod forebyggelse, diagnosticering og/eller behandling af sygdomme, mens vævstekniske produkter er beregnet til regeneration. Et eksempel er Holoclar, et EMA-godkendt produkt bestående af ex vivo-ekspanderede autologe hornhindeceller til behandling af moderat-svær limbal stamcellemangel efter fysiske eller kemiske okulære forbrændinger. Celler høstes fra patientens raske limbale væv, dyrkes på en fibrinmembran og implanteres kirurgisk i øjet, hvor de understøtter regeneration af hornhindens overflade (Figur 2) [10].

Kombinerede avancerede medicinske terapier

Kombinerede ATMP består af en af de avancerede terapier nævnt ovenfor, integreret med et eller flere medicinske udstyrskomponenter i én samlet behandlingsenhed [4]. Der er ingen EMA-godkendte lægemidler i denne kategori, men produktet PEC Encap har været under klinisk afprøvning. PEC Encap er udviklet til insulinkrævende diabetes og anvender allogene embryonale stamceller, der ex vivo differentieres til pankreatiske endodermceller. Disse indkapsles i en immunbeskyttende enhed (et medicinsk udstyr), der implanteres subkutant i abdomen, hvor cellerne modnes til insulinproducerende betaceller. Cellerne bidrager dermed til regulering af blodglukoseniveauet og kan potentielt eliminere behovet for eksogen insulinbehandling (Figur 2) [11].

Regulatorisk ramme

I EU reguleres ATMP under et specialiseret juridisk regelværk, ATMP-forordningen (EF nr. 1394/2007), som foreskriver en centraliseret godkendelsesproces via EMA [12]. Under regelværket er der oprettet en dedikeret komité, Committee for Advanced Therapies (CAT), som vurderer ATMP. CAT er ansvarlig for klassificering af produkterne samt vurdering af kvaliteten, sikkerheden og effektiviteten. Komitéens primære opgave er at udarbejde et udkast til udtalelse, som EMA's komité for lægemidler til menneskeligt brug, Committee for Medicinal Products for Human Use, bruger til at vurdere lægemidlet med henblik på markedsføringstilladelse. Dernæst afgiver EU-Kommissionen den endelige afgørelse.

Mange ATMP godkendes med betinget markedsføringstilladelse baseret på begrænsede kliniske data, mod at producenten senere leverer supplerende dokumentation for sikkerhed og effekt. En betinget godkendelse kræver positiv benefit-risk-vurdering, mulighed for at fremlægge manglende data inden for en fast tidsramme og adressering af et udækket medicinsk behov. Holoclar blev f.eks. godkendt med den betingelse, at man vil udføre et multinationalt prospektivt open label og ukontrolleret postmarketinginterventionsstudie med henblik på at evaluere effekten og sikkerheden af Holoclar. Studiet skulle gennemføres inden for en seksårige periode [13, 14].

Som for andre lægemidler skal ATMP overholde strenge krav til fremstilling, herunder good manufacturing practice (GMP)-standarder, der er specifikke for avancerede terapier [15]. Derudover skal fuld sporbarhed – fra startmateriale (donor) til administration hos patienten – kunne dokumenteres.

Da det regulatoriske ATMP-landskab er komplekst, tilbyder EMA flere støtteprogrammer til især akademiske udviklere, bl.a. videnskabelig rådgivning til reduceret pris. EU's rammeværk omfatter også en »hospitalsundtagelse«, som tillader produktion og brug af ikkemarkedsførte produkter på hospitaler til enkelte patienter. I Danmark fortolkes dette som en udleveringstilladelse. Et eksempel er det CD19-rettede CAR-T-produkt ARI-0001 (varnimcabtagene autoleucel), udviklet og produceret på Hospital Clinic of Barcelona, der blev godkendt i Spanien i 2021 til behandling af recidiverende eller refraktær akut lymfoblastær leukæmi hos patienter > 25 år [16].

Open Access under Creative Commons License CC BY-NC-ND 4.0

Ibrugtagning af avancerede medicinske terapier som standardbehandling i Danmark

Medicinrådet vurderer ATMP efter samme principper som andre lægemidler, herunder forholdet mellem dokumenteret effekt og omkostninger. For de første ti ATMP-vurderinger var den gennemsnitlige sagsbehandlingstid 450 dage – fra EMA-godkendelsen til en national anbefaling forelå [17].

Fra januar 2025 gælder en ny EU-forordning (2021/2282), der kræver, at medlemslandene udarbejder fælles kliniske vurderinger af nye lægemidlers relative kliniske effekt i forhold til eksisterende behandlinger. I første omgang omfatter dette kræftlægemidler og ATMP. Formålet er én harmoniseret EU-dækkende klinisk vurdering, så landene ikke længere laver parallelle nationale effektvurderinger. Dette skal reducere dobbeltarbejde, skabe ensartet adgang til nye behandlinger og understøtte hurtigere nationale beslutninger om ibrugtagning og refusion.

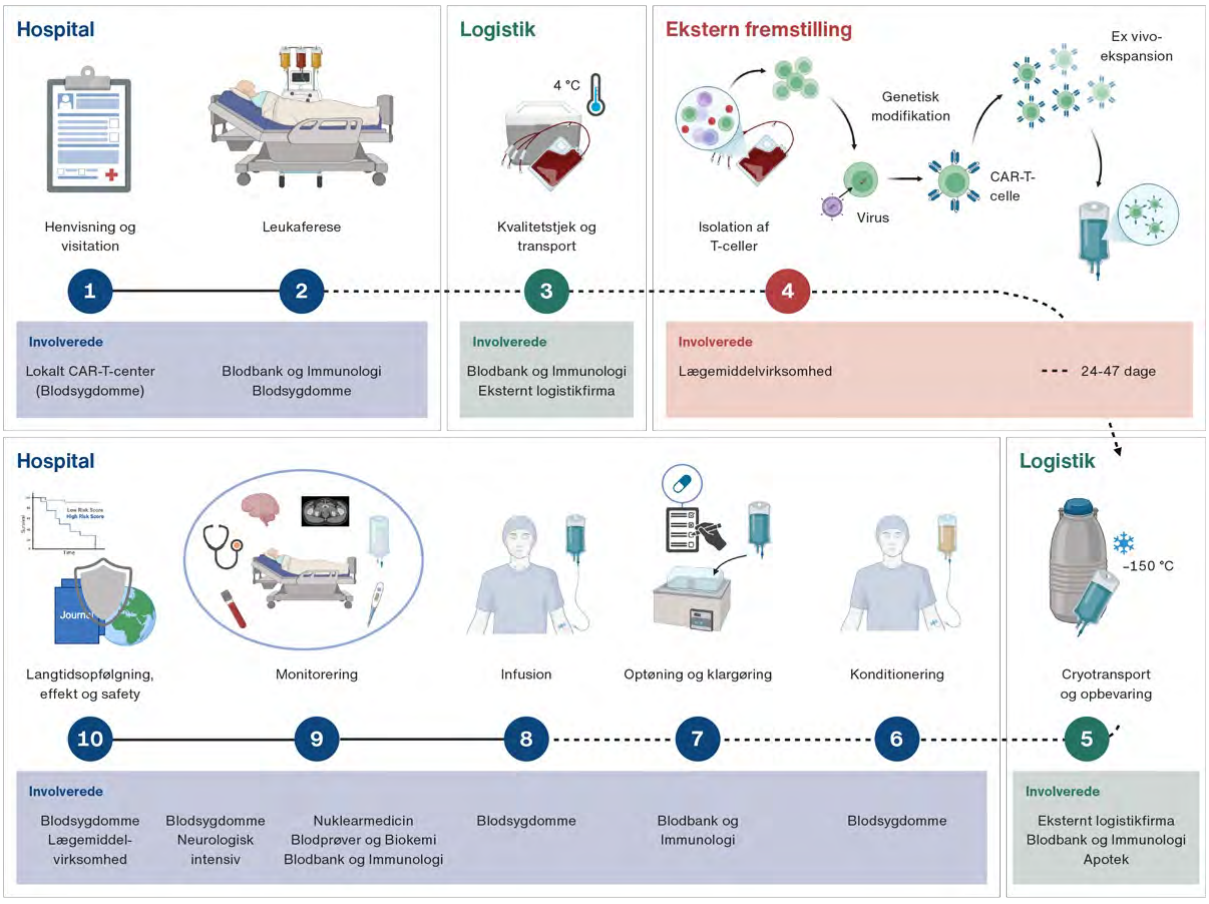
ATMP udgør potentielt en betydelig økonomisk udfordring for sundhedsvæsenet (Figur 1), og flere lægemidler er tidligere afvist af Medicinrådet på grund af høje omkostninger og usikkerhed om langtidseffekt [18, 19]. Derfor er der i stigende grad fokus på alternative finansieringsmodeller, der kan understøtte mere bæredygtig ibrugtagning af nye behandlinger [20], herunder f.eks. en effektbaseret ordning, hvor fuld betaling kun sker ved dokumenteret behandlingsrespons.

Implementering af avancerede medicinske terapier i klinisk praksis

Klinisk anvendelse af ATMP er driftsmæssigt kompleks og stiller omfattende krav til behandlende afdelinger og sundhedsvæsenet. Det drejer sig ikke alene om håndtering af et nyt lægemiddel, men også om etablering og vedligeholdelse af nye arbejdsgange, specialiseret infrastruktur og robuste kvalitetssystemer samt mange samarbejdsflader på tværs af enheder, hvor også præcis koordinering og timing af de enkelte procestrin er afgørende. Behandling med kommercielle CAR-T-produkter er et illustrativt eksempel. Forløbet involverer mange trin og aktører (**Figur 3**), og ud over myndigheds- og virksomhedsspecifikke krav bidrager den komplekse patientmonitorering som en væsentlig faktor til implementeringens kompleksitet.

Open Access under Creative Commons License CC BY-NC-ND 4.0

FIGUR 3 Tværfagligt arbejdsflow for autolog kimær antigenreceptor (CAR)-T-behandling med et kommercielt produkt. Figuren illustrerer den samlede proces for anvendelse af et kommercielt CAR-produkt – fra patienthenvisning og visitation til lægemiddelfremstilling, infusion og klinisk opfølgning – samt de mange involverede aktører. Forløbet er kendetegnet ved omfattende krav til logistik, sporbarhed, kvalitetssystemer, herunder good manufacturing practice og overholdelse af myndighedskrav. Patienten henvises og visiteres i henhold til nationale retningslinjer [21], hvorefter behandlingsforløbet planlægges. Efter leukaferese-proceduren kvalitetstestes celleproduktet bl.a. for krav til antal relevante celler, hvorefter det sendes til ekstern cellebearbejdning. Fremstillingen omfatter isolation af T-celler, genetisk modifikation og ex vivo-ekspansion for at opnå et terapeutisk relevant celleantal. Lægemiddelproduktet cryopræserveres og sendes til opbevaring lokalt på hospitalet, hvorefter patienten modtager lymfodepleterende kemoterapi som konditionering. Dette igangsættes flere dage forud, for at CAR-T-produktet klargøres til infusion. Efter CAR-T-behandling foretages omfattende og systematisk monitorering med henblik på udvikling af eventuelle bivirkninger, herunder cytokine release syndrome og neurotoksicitet (immune effector cell-associated neurotoxicity syndrome), som kan være alvorlige og kræver hurtig diagnostik og behandling. Håndtering af bivirkninger ved CAR-T-behandling kræver oftest en tværfaglig indsats. Patienterne følges efterfølgende klinisk, og data vedrørende effekt og sikkerhed indsamles. Den samlede tidsramme fra leukaferese til infusion er typisk 24-47 dage [22-24]. Figuren afspejler arbejdsgange på Aarhus Universitetshospital, og mindre variation kan forekomme mellem centre og produkter samt ved protokollerede studier.
Figuren er udarbejdet i BioRender: Møller B (2026). BioRender.com/mqus5xa.



Akademisk point-of-care-fremstilling, hvor ATMP produceres lokalt på sygehuset, diskuteres som supplement til kommercielle produkter [25]. Dette kan reducere ventetid, logistiske risici og potentielt omkostninger, samtidig med at sundhedsvæsenet får en mere aktiv rolle i produktionen. Modellen stiller dog store krav til GMP-faciliteter, uddannelse af kvalificeret personale og investering i infrastruktur. Flere nationale og internationale initiativer er igangsat for at afprøve sådanne modeller.

Konklusion

ATMP-feltet udvikler sig hastigt og rummer stort potentiale for at transformere patientbehandling. Samtidig medfører ATMP komplekse udfordringer inden for bl.a. udvikling, klinisk implementering, regulatoriske krav

Open Access under Creative Commons License CC BY-NC-ND 4.0

og økonomi. En vellykket integration vil kræve tæt samarbejde mellem forskellige aktører, herunder det akademiske miljø, sundhedsvæsenet, lægemiddelindustrien og relevante myndigheder. Flere europæiske lande, herunder Danmark, har igangsat nationale strategier for at centralisere ekspertise og håndtere disse udfordringer. Life Science-strategien 2024-2027 har afsat 18,5 mio. kr. til ATMP Danmark for at etablere en central indgang for klinikere, forskere og industri, udarbejde letanvendelige retningslinjer og styrke et sammenhængende nationalt setup for at sikre, at Danmark ikke blot følger udviklingen, men også bidrager aktivt til at forme den globale ATMP-dagsorden.

Brug af kunstig intelligens *I udarbejdelsen af manuskriptet har vi anvendt ChatGPT (GPT-5, OpenAI) som et sprogligt støtteværktøj til at forbedre sproglige formuleringer og læsbarhed samt for at generere forslag til kortere sætninger og sammensætning af afsnit.*

Korrespondance Rasmus Roost Aabling. *E-mail: rasaab@clin.au.dk*

** Disse forfattere har bidraget ligeligt*

Antaget *17. april 2026*

Publiceret på ugeskriftet.dk *24. august 2026*

Interessekonflikter *RRA oplyser økonomisk støtte fra eller interesse i Gigtforeningen, Steno Diabetes Center Aarhus, Else og Mogens Wedell Wedellsborgs Fond og KID Fonden. ALSR oplyser økonomisk støtte fra eller interesse i Innovationsfonden, Aarhus Universitetshospital, BETA.HEALTH, Bloddonorernes Forskningsfond og Miltenyi Biotec. MR oplyser økonomisk støtte fra eller interesse i Kræftens Bekæmpelse, Novo Nordisk Fonden, Danmarks Frie Forskningsfond, Neye-Fonden, Aarhus Universitetshospital, Pfizer, Ipsen og AstraZeneca. Alle forfattere har indsendt ICMJE Form for Disclosure of Potential Conflicts of Interest. Disse er tilgængelige sammen med artiklen på ugeskriftet.dk*

Referencer *findes i artiklen publiceret på ugeskriftet.dk*

Artikelreference *Ugeskr Læger 2026;188:V12251027*

doi *10.61409/V12251027*

Open Access *under Creative Commons License CC BY-NC-ND 4.0*

SUMMARY

Advanced therapy medicinal products

Advanced therapy medicinal products are a rapidly expanding drug class based on genes, cells, and tissues, transforming the treatment of diseases, including haematologic cancers and genetic disorders, such as sickle cell disease and haemophilia. This review highlights that successful clinical implementation requires coordinated national strategies, regulatory support, sustainable funding, robust clinical and production infrastructure, and trained specialised personnel to ensure timely, safe, and equitable patient access.

REFERENCER

1. Frangoul H, Locatelli F, Sharma A et al. Exagamglogene autotemcel for severe sickle cell disease. N Engl J Med. 2024;390(18):1649-1662 https://doi.org/10.1056/NEJMoa2309676
2. Pipe SW, Leebeek FWG, Recht M et al. Gene therapy with etranacogene dezaparvovec for hemophilia B. N Engl J Med. 2023;388(8):706-718. https://doi.org/10.1056/NEJMoa2211644
3. Musunuru K, Grandinette SA, Wang X et al. Patient-specific in vivo gene editing to treat a rare genetic disease. N Engl J Med. 2025;392(22):2235-2243. https://doi.org/10.1056/NEJMoa2504747
4. Lægemiddelstyrelsen. Regulering af innovative lægemidler herunder avanceret terapi (ATMP), 2025. https://laegemiddelstyrelsen.dk/da/special/regulering-af-innovative-laegemidler-herunder-avanceret-terapi-atmp-/ (22.

april 2026)

5. European Medicines Agency. CAT quarterly highlights and approved ATMPs, 2025. https://www.ema.europa.eu/en/documents/committee-report/cat-quarterly-highlights-approved-atmps-december-2025_en.pdf (26. feb 2026)
6. U.S. Food and Drug Administration. Approved cellular and gene therapy products, 2025. https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products (25. nov 2025)
7. European Medicines Agency. Yescarta (axicabtagene ciloleucel), 2026. https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yescarta (26. feb 2026)
8. European Medicines Agency. Luxturna (voretigene neparvovec), 2026. https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/luxturna (26. feb 2026)
9. Keam SJ. Tabelecleucel: first approval. Mol Diagn Ther. 2023;27(3):425-431. https://doi.org/10.1007/s40291-023-00648-z
10. European Medicines Agency. Holoclar ex vivo expanded autologous human corneal epithelial cells containing stem cells, 2025. https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/holoclar (8. jul 2025)
11. Ramzy A, Thompson DM, Ward-Hartstonge KA et al. Implanted pluripotent stem-cell–derived pancreatic endoderm cells secrete glucose-responsive C-peptide in patients with type 1 diabetes. Cell Stem Cell. 2021;28(12):2047-2061.e5. https://doi.org/10.1016/j.stem.2021.10.003
12. European Medicines Agency. Legal framework: advanced therapies, 2025. https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview/legal-framework-advanced-therapies (9. dec 2025)
13. European Medicines Agency. Summary of opinion (initial authorisation): Holoclar, 2014. https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-holoclar_en.pdf (26. feb 2026)
14. European Medicines Agency. Assessment report: Holoclar, 2014. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/holoclar-epar-public-assessment-report_en.pdf (26. feb 2026)
15. European Commission. EudraLex: The rules governing medicinal products in the European Union. Volume 4: Good manufacturing practice, 2017. https://health.ec.europa.eu/document/download/ad33d9dd-03f0-4bef-af53-21308ce2187d_en?filename=2017_11_22_guidelines_gmp_for_atmps.pdf (26. feb 2026)
16. Juan M, Delgado J, Calvo G et al. Is hospital exemption an alternative or a bridge to European Medicines Agency for developing academic chimeric antigen receptor T-cell in Europe? Our experience with ARI-0001. Hum Gene Ther. 2021;32(19-20):1004-1007. https://doi.org/10.1089/hum.2021.168
17. Medicinrådet. Overblik over ATMP-lægemidler i Skandinavien, 2024. https://medicinraadet.dk/nyheder/2024/overblik-over-atmp-laegemidler-i-skandinavien (11. dec 2025)
18. Medicinrådet. Stigende priser og spinkle data: derfor ønsker Medicinrådet mere risikodeling, 2024. https://medicinraadet.dk/nyheder/2024/stigende-priser-og-spinkle-data-derfor-onsker-medicinradet-mere-risikodeling (26. feb 2026)
19. Medicinrådet. Nye pristilbud på ATMP-lægemidler kan føre til nye anbefalinger fra Medicinrådet, 2024. https://medicinraadet.dk/nyheder/2024/nye-pristilbud-pa-atmp-laegemidler-kan-fore-til-nye-anbefalinger-fra-medicinradet (17. maj 2024)
20. Amgros. Alternative aftalemodeller, 2022. https://amgros.dk/media/3598/oversigt-over-alternative-aftalemodeller-amgros-2022.pdf (26. feb 2026)
21. Dansk Hæmatologisk Selskab, Dansk Selskab for Klinisk Immunologi. Nationale retningslinjer for CAR-T behandling hos voksne, 2025. https://hematology.dk/wp-content/uploads/2025/02/Nationale-retningslinjer-for-CAR-T-behandling-hos-voksne-Final-Version-03-02-2025.pdf (26. feb 2026)
22. European Medicines Agency. Summary of product characteristics: Carvykti, 2022. https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/carvykti-epar-product-information_en.pdf (10. dec 2025)
23. European Medicines Agency. Summary of product characteristics: Yescarta, 2018. https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/yescarta-epar-product-information_en.pdf (10. dec 2025)
24. European Medicines Agency. Summary of product characteristics: Breyanzi, 2018. https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/breyanzi-epar-product-information_en.pdf (10. dec 2025)

Open Access under Creative Commons License CC BY-NC-ND 4.0

25. Palani HK, Arunachalam AK, Kulkarni U et al. Safety, efficacy and total cost of point-of-care manufactured anti-CD19 CAR-T cell therapy in India: VELCART trial. Mol Ther Oncol. 2025;33(2):200977. https://doi.org/10.1016/j.omton.2025.200977

Open Access under Creative Commons License CC BY-NC-ND 4.0