Skal patientværdi være et prioriteringskriterium i dansk sundhedsforskning?

LEDER

Jes Søgaard

Ugeskr Læger 2018;180:V69903

Rygård et al [1] viser i en artikel i dette nummer af Ugeskrift for Læger, at 10% af bevillingerne til sundhed fra Danmarks Frie Forskningsfond og Innovationsfonden går til kliniske forsøg. Kliniske forsøg har til formål at dokumentere patientværdi, dvs. vise om og hvordan interventioner, der er konciperet og prototypeudviklet tidligere i forskningskæden, virker for patienter og sundhedspersoner, om de er patientsikre og kan tåles, gør gavn og nytte for patienterne, og om omkostningerne står mål med effekten og nytten. F.eks. er kliniske retningslinjer baserede på sådanne kliniske forsøg og er én måde, hvorpå forskning omsættes til praksis i sundhedsvæsenet og dermed til patientværdi.

10% af forskningskronerne går til det, 60% af kronerne går til basal (21%) og translationel forskning (39%), 17% går til produkt- og teknologiudvikling og 13% til anden klinisk forskning end forsøg.

Fordelingen er måske ikke overraskende, når man betænker forskningens fokus på teknologi og innovation – det nye i fremtidens sundhedsvæsen. Jeg kender ikke fordelingen af de private forskningsfondes, universiteternes og sygehusenes forskningsmidler. Til gengæld gennemføres der rigtig mange kliniske forsøg i lægemiddelindustriens pivotale undersøgelser for at opnå markedsføringstilladelse til deres nye lægemidler.

Når industrien gennemfører mange kliniske forsøg, så er det vel tilstrækkeligt? Måske ikke helt, fordi: 1) Industriens forskning er fokuseret på deres nye lægemidler, 2) industriforskningens studiepopulationer afviger markant fra klinikkens patienter [2], og 3) markedsføringstilladelse er ikke lig med dokumenteret patientværdi [3].

I EU-landene er myndigheden til udstedelse af markedsføringstilladelser for nye (anvendelser af) lægemidler samlet i European Medicines Agency (EMA). EMA gav i årene 2009-2013 i alt 68 tilladelser til nye anvendelser af kræftlægemidler. Kun i 24 (35%) af disse tilladelser var meroverlevelse dokumenteret i mindst en pivotal undersøgelse. Meroverlevelsen spændte fra en til knap seks måneder og var klinisk meningsfuld i halvdelen af de 24 tilladelser. Hovedparten af EMA's tilladelser var baserede på surrogateffektmål som progressionsfri overlevelse, der navnet til trods er en tvivlsom indikator for såvel overlevelse som anden patientværdi ved de fleste kræftsygdomme. I tre ud af de 44 tilfælde, hvor tilladelse tildeltes uden dokumentation for meroverlevelse, har firmaet efterfølgende fremsendt dokumentation.

Industriens kliniske forsøg er farmaceutisk fokuserede, og der kan selv hos selekterede studiepopulationer oftest ikke dokumenteres patientværdi. Der *er* derfor behov for sundhedsvæsenets egne kliniske forsøg for at dokumentere patientværdien meget bredere i sundhedsvæsenet og for alle patienter. Ellers er vores sundhedsvæsen ikke evidensbaseret.

En australsk sundhedsøkonomisk undersøgelse [4] viste, hvordan kliniske forsøg hurtigt skabte patientværdi gennem bedre *outcomes*, kvalitetsforbedringer, øget patientsikkerhed og/eller besparelser. Det skete bl.a. via hurtig optag i kliniske retningslinjer. Interessant er også, at patientværdien kunne kvantificeres både medicinsk og økonomisk i afkast pr. investeret forskningskrone – som i øvrigt er ret højt. Det kan udnyttes, hvis patientværdi skal være et ekstra prioriteringskriterium for sundhedsforskningen.

Det er ikke helt nye tanker. Det indgik således i NASTRA-rapporten [5], at et selvstændigt mål for sundhedsforskningen er udvikling og kvalitet i sundhedsvæsenet. Der har været mange lignende tiltag sidenhen. Til trods herfor har vi stadig en skæv fordeling i de offentlige sundhedsforskningskroner, som vi nu kender fordelingen for: 60% går til basal og translationel forskning og 10% til kliniske forsøg, som skal vise, om og hvordan frugterne fra førstnævnte omsættes i klinisk praksis til gavn og nytte for patienterne.

Måske er der behov for, at vi igen ser på fordelingen af de vigtige, men knappe forskningskroner? Vi har bedre metoder til måling af patientværdi nu end for 25 år siden. Men vi skal ville det.

LITTERATUR

1. Rygaard SL, Kjær MBN, Perner A, Statens investering i kliniske forsøg. Ugesk Læger 2018;180:V09170645.
2. Donia M, Kimper-Karl ML, Høyer KL et al. The majority of patients with metastatic melanoma are not represented in pivotal phase III immunotherapy trials. Eur J Cancer 2017;74:89-95.
3. Davis C, Naci H, Gurpinar E et al. Availability of evidence of benefits on overall survival and quality of life of cancer drugs approved by European Medicines Agency: retrospective cohort study of drug approvals 2009-13. BMJ 2017;359:j4530.
4. Economic Evaluation of investigator- initiated clinical trials conducted by networks. Final Report. Australian Commission on Safety and Quality in Health Care, 2017.
5. Det Nationale Strategiudvalg for Sundhedsvidenskab, NASTRA. Forslag til en national strategi for sundhedsvidenskab. Betænkning nr. 1284. Forskningsministeriet, 1995.

KORRESPONDANCE: *Jes Søgaard,* Kræftens Bekæmpelse, Politik & Jura. E-mail: jsogaard@cancer.dk

INTERESSEKONFLIKTER: Forfatterens ICMJE-formular er tilgængelig sammen med lederen på Ugeskriftet.dk