

KLINISK FORSKNING I DANMARK

Information til patienter
om kliniske forsøg

Trial Nation
Clinical Trials Denmark

KORT OG GODT OM KLINISK FORSKNING

Kliniske forsøg er omhyggeligt overvågede forskningsundersøgelser, der udføres på mennesker. Klinisk forskning er kernen i alle medicinske fremskridt, og anvendes til at undersøge nye måder at forebygge, opdage eller behandle sygdom på. Her kan du læse om, hvad kliniske forsøg indebærer.

Hvad er kliniske forsøg?

Kliniske forsøg er en forudsætning for udvikling af bedre medicin og behandlinger, da resultaterne skal bruges til at få godkendt anvendelsen af nye metoder til forebyggelse, diagnose, behandling og adfærdsændringer.

Målet er at afgøre, om de undersøgte forebyggelses-, diagnose-, behandlings- eller adfærdsmetoder har en positiv virkning i forhold til eksisterende metoder, og om de nye metoder er sikre at anvende.

Deltagelse i kliniske forsøg er frivillig for forsøgspartagerne, og der er etiske regler for, hvordan man bliver involveret i et klinisk forsøg. Kliniske forsøg er en mulighed for at få adgang til de nyeste metoder til forbedring af sundheden, mens de udvikles, og når man vælger at deltage i klinisk forskning, hjælper man læger og forskere med at forbedre vores sundhedsvæsen.

Der er forskellige typer af kliniske forsøg:

- Forebyggelsesforsøg afprøver bedre måder at forebygge en sygdom hos mennesker, der aldrig har haft sygdommen, eller for at forhindre en sygdom i at komme tilbage. Det kan være medicin, vacciner eller livsstilsændringer, der undersøges.
- Diagnostiske forsøg undersøger eller sammenligner tests eller procedurer til diagnosticering af en bestemt sygdom eller tilstand.
- Behandlingsforsøg tester ny medicin, medicinsk udstyr eller nye behandlingsmetoder, f.eks. kirurgi eller strålebehandling.
- Adfærdsforsøg undersøger metoder til at fremme adfærdsmæssige ændringer f.eks. kostomlægning eller rygestop, som forventes at forbedre sundheden.

Yderligere læsning

[Sundhed.dk: Om at være forsøgsperson](#)

Hvordan foregår forskningsprocessen?

Idéen til et klinisk forsøg starter ofte i laboratoriet. Efter forskere har undersøgt ny medicin eller medicinsk udstyr eller procedurer i laboratoriet og hos dyr, startes der kliniske forsøg med de mest lovende løsninger. Som nye medicinske løsninger bevæger

sig frem i udviklingen skabes der mere information, og der opnås viden om hvilke fordele og ulemper, de har for mennesker. Når der er tilstrækkelig dokumentation på de nye medicinske løsninger, kan de blive en del af standardbehandlingen af en sygdom.

Yderligere spørgsmål og information

Hvis du, efter at have læst disse sider, stadig har ubesvarede spørgsmål om kliniske forsøg, er der hjælp at hente. Information om deltagelse i kliniske forsøg kan findes i folderen [Deltagelse i Kliniske Forsøg](#). For andre spørgsmål og henvendelser kan du besøge Trial Nations hjemmeside, og er også velkommen til at kontakte os:

www.trialnation.dk,

contact@trialnation.dk eller

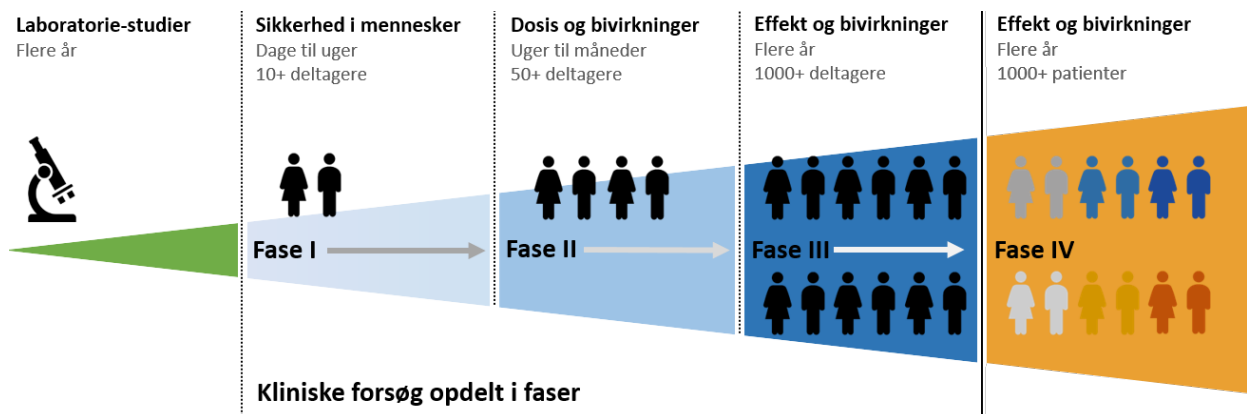
+45 20 22 42 38

Hvad er de fire faser af kliniske forsøg med lægemidler?

Et lægemiddel undersøges først i laboratoriet, senere på dyr, og hvis de undersøgelser viser loven-
de resultater – så kan de kliniske faser begynde.
Patienter, der indgår i et klinisk studie, er ofte nøje
udvalgt til at være ensartede, ud fra et sæt kriteri-

er. Jo mere ens patienterne er, des klarere træder
effekten af f.eks. to forskellige doser frem.

Herunder er udviklingen af et lægemiddel i de fire
faser vist.



Første fase (Er det tåleligt, og hvor stor dosis er sikker på kort sigt)

Fase I-forsøg er kortvarige, der gives meget lave doser, og de udføres på få mennesker. Her undersøges, om lægemidlet er sikkert at give til mennesker. Traditionelt blev fase I forsøg gennemført på raske deltagere, men de nyere, biologisk aktive lægemidler testes oftest på patienter. Hvis der deltager patienter i fase I-forsøg, undersøges såvel dosis, effekt og bivirkninger.

Anden fase (Passende dosis findes)

I fase II undersøges lægemidlets effekt og sikkerhed i en lidt større gruppe mennesker - denne gang af patienter - som potentielt kan have gavn af den. Formålet er at dokumentere og måle kortsigtede effekter, samt at finde den effektive dosis, der dog ikke er højere end den tolerable dosis, man fandt i fase I.

Tredje fase (Er der bivirkninger og er eksisterende behandling bedre eller ej)

Fase III-studier er de største studier med hensyn til deltagere og varighed. I fase III skal man bekræfte de effekter, der blev dokumenteret i fase II, og undersøge de mere langsigtede effekter og bivirkninger af at anvende lægemidlet.

Lægemidlet afprøves på en stor gruppe syge mennesker (flere tusinde) ved sammenligning med standardbehandlingen. Formålet er at vurdere, om balancen mellem effekt og bivirkninger er mere fordelagtig ved det nye lægemiddel end ved den eksisterende behandling.

Fase III-studier er ofte blinde for at øge troværdigheden af studiets resultater (læs om blinde forsøg nedenfor). Efter tilstrækkelige Fase III-studier kan et lægemiddel godkendes til udskrivning af læger på hospitaler og i lægepraksis.

Fjerde fase (Langtidseffekter og bivirkninger)

Når lægemidlet er godkendt og i anvendelse, undersøges effekt og bivirkninger stadig løbende. Fase IV-studier udføres både for at vise lægemidlets effekt og sikkerhed i mere sammensatte grupper (alder, køn, alvorlighed af sygdom og mange andre forskelle mellem mennesker) og for at undersøge, om der kommer alvorlige, men sjældne bivirkninger. Endvidere undersøges, hvordan anvendelsen af lægemidlet kan gøres bedre.

Yderligere læsning

Kræftens Bekæmpelse: Faser i forsøgsbehandling

Hvad er kliniske forsøgsprotokoller?

Kliniske forsøg følger en nøje beskrivelse, som kaldes en protokol. Protokollen er omhyggeligt designet til at afbalancere de potentielle fordele og risici for forsøgsdeltagerne og besvare specifikke forsknings spørgsmål. En protokol beskriver følgende:

- Målet med undersøgelsen
- Hvem, der er egnet til at deltage i forsøget
- Beskyttelse mod risici for deltagerne
- Detaljer om tests, procedurer og behandlinger
- Hvor længe forsøget forventes at vare
- Hvilke oplysninger, der vil blive indsamlet

Et klinisk forsøg ledes af en forsøgsansvarlig, som gennemfører forsøget i samarbejde med forskningspersonalet (sygeplejesker, laboranter, psykologer m.fl.). Forskningspersonalet overvåger løbende deltageres sundhed for at sikre, at studiet er sikkert for deltagerne at deltage i, samt at datakvaliteten er tilstrækkelig.

Yderligere læsning

Lægemiddelstyrelsen: *Vejledning til ansøgning om tilladelse til kliniske forsøg med lægemidler på mennesker – forsøgsprotokollen*

Hvad betyder ordene placebo, randomisering og blindet i kliniske forsøg?

Når et nyt lægemiddel undersøges, sammenlignes det med andre behandlingsmåder. Lægemidlet skal

vises sig mere virksomt og sikrere for at blive betragtet som bedre.

Randomisering

Randomisering er tilfældig tildeling af behandling til forsøgsdeltagerne. Dette gøres for at undgå, at forsøgsdeltagerne forsætligt tildeles en bestemt behandling. Virkningerne af hver behandling sammenlignes på bestemte punkter under forsøget. Hvis en behandling vurderes til at være klart den bedste, stoppes forsøget, så flest forsøgsdeltagere får den mere gavnlige behandling.

Placebo

Placebomedicin er et inaktivt produkt, der ligner den aktive medicin eller procedure, men uden dets behandlingseffekt. Sammenligning af et nyt produkt med placebo kan være den hurtigste og mest pålidelige måde at vise det nye produkts effektivitet på. Placebo anvendes imidlertid ikke, hvis deltagerne vil være i fare, hvis de er ubehandlede – især i undersøgelsen af behandlinger for alvorlige sygdomme anvendes placebo sjældent. Forsøgsdeltagerne vil blive fortalt, om placebo anvendes i studiet, inden de vælger at deltage i et forsøg. Forsøgsdeltagerne får dog ikke at vide, om de modtager aktiv eller inaktiv behandling, hvis det kliniske forsøg er blindet (se nedenfor).

Blindede forsøg

Blindede undersøgelser er lavet, så patienter og/eller forskningspersonalet ikke ved, om der gives forsøgsbehandling eller den behandling, der skal sammenlignes med. Blinding muliggør indsamling af videnskabeligt nøjagtige data. I enkeltblindede undersøgelser ved forsøgsdeltageren ikke, hvilken behandling der gives, men forskningspersonalet kender til det. I et dobbeltblindet forsøg ved hverken forsøgsdeltager eller forskningspersonalet, hvilken behandling der bliver givet. Hvis der opstår en situation, hvor det er nødvendigt at vide, om en forsøgsdeltager får den ene eller anden behandling, har forskningspersonalet mulighed for at afblinde behandlingen omgående.

Hvem giver tilladelse til kliniske forsøg?

Kliniske forsøg er grundigt kontrolleret af forskellige instanser for at sikre deltageres sikkerhed, og at forsøgene lever op til videnskabsetiske regler. Et grundprincip ved kliniske forsøg er, at patienternes sikkerhed og velbefindende altid går forud for alle andre interesser.

Sundhedsvidenskabelige forsøg skal godkendes af en videnskabsetisk komité, før de kan igangsættes. Der findes et antal af disse komitéer i hver region, samt en national komité, der tager stilling til særligt komplekse forsøg og er klageinstans for afgørelser truffet i de regionale komitéer. Hver komité består

af en sammensætning af sundhedsfaglige og lægpersoner.

Forud for igangsættelsen af et forsøg vurderer en videnskabsetisk komité:

- Om forsøget er etisk forsvarligt at gennemføre, i forhold til forsøgspersonernes rettigheder og sikkerhed.
- Om balancen mellem risiko ved deltagelsen og den nytte, der opnås, er acceptabel, og om det er sandsynligt, at forsøget vil bidrage med ny viden – ellers må forsøget ikke gennemføres.

Hvem betaler og er ansvarlig for et klinisk forsøg?

Klinisk forskning danner grundlaget for beslutninger om hvilke behandlinger, der bruges i sundhedsvæsnet, og det påvirker hele samfundets sundhed. Denne forskning er derfor underlagt mange regler for at øge ensartethed, gennemsigtighed og troværdighed. Omfanget af studierne og den mængde regler, der skal følges, gør at klinisk forskning koster mange penge.

Kliniske forsøg kan være finansieret af private firmaer (kommerciel forskning), offentlige institutioner (non-kommerciel forskning) eller en kombination. Der er ikke forskel på de krav, et kommercielt og et non-kommercielt studie skal leve op til.

Den, der betaler for udførelsen af et studie, kaldes studiets sponsor. Af deltagerinformationen fremgår, hvem der er sponsor for et klinisk forsøg, og hvordan de økonomiske forhold omkring forsøget er. Det kan være et firma, en organisation eller en person, der har rollen som sponsor.

Den, der har ansvar for studiets udførelse på hospitalet eller i lægepraksis, kaldes investigatoren eller den forsøgsansvarlige.

I et non-kommercielt studie kan sponsoren og investigatoren være den samme person. Det kunne også være en professor eller et hospital, der er sponsor og en ph.d.-studerende, der er investigator. I et kommercielt studie er sponsoren ofte en lægemiddelvirksomhed eller en virksomhed, der leverer medicinsk udstyr, og investigator(ene) er ofte læger på hospitalsafdelinger.

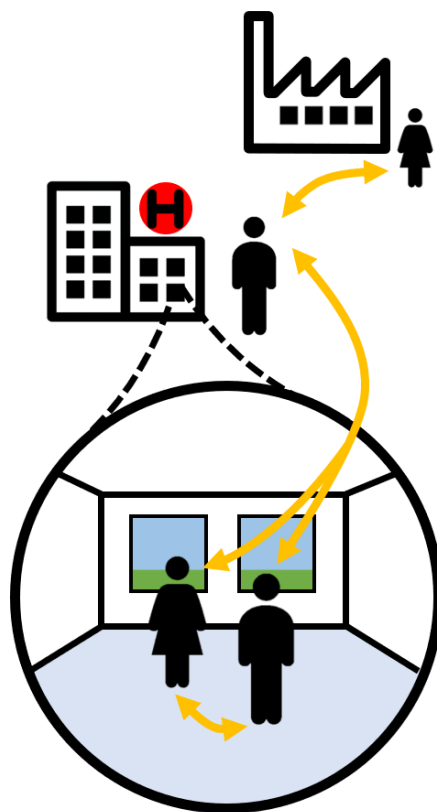
Lægemiddelforsøg og forsøg med ikke godkendt medicinsk udstyr skal i tillæg godkendes af Lægemiddelstyrelsen, som også kontrollerer, at forsøg gennemføres i henhold til gældende krav (Fra blandt andet lægemiddeloven, Sundhedsstyrelsen og i overensstemmelse med kvalitetsstandarden for god klinisk praksis (GCP).

Yderligere læsning

Lægemiddelstyrelsen: *Kliniske forsøg med lægemidler*

Lægemiddelstyrelsen: *Klinisk afprøvning af medicinsk udstyr*

National Videnskabsetisk Komité: *Før du beslutter dig*



Det er en forudsætning for udvikling af nye lægemidler og medicinsk udstyr, at der er mulighed for effektive, gennemsigtige og troværdige samarbejder mellem læger og medicinalindustri. Derfor er der regler for, at læger og andet sundhedspersonale skal offentliggøre deres samarbejde med industrien.

Yderligere læsning

Lægemiddelstyrelsen: *Nye regler for personer, der samarbejder med industrien*

Offentligt tilgængelige registre over kliniske forsøg

Alle offentliggjorte, godkendte kliniske forsøg med lægemidler i Europa kan findes i EU's database, clinicaltrialsregister.eu. Denne oversigt vedligeholdes af Det Europæiske Lægemiddelagentur, EMA. Fra 1. januar 2015 har det været et krav, at resultater for afsluttede lægemiddelforsøg registreres her. Det vil sige, at det heri er muligt at finde resultater for alle afsluttede, europæiske lægemiddelforsøg, der er startet efter denne dato.

Det amerikanske register over kliniske forsøg, ClinicalTrials.gov, omfatter flere typer af forsøg end

det europæiske, inklusive forsøg, der finder sted i Danmark. Her findes informationer om studier der undersøger forebyggelses-, diagnose-, behandlings- eller adfærdsmetoder, hvor det europæiske register udelukkende dækker forsøg med lægemidler. Her er adgang til information om, og resultater fra, kliniske studier fra før, under og efter et forsøg gennemføres.

Registrene indeholder ikke personhenførbare data.

Hvad sker der, efter et klinisk forsøg er afsluttet?

Når et klinisk forsøg er afsluttet, starter forskerne en grundig bearbejdning af de data, der er indsamlet undervejs, inden de træffer beslutninger om betydningen af resultaterne og om behovet for yderligere forsøg. Efter et fase I- eller II-forsøg beslutter forskerne, om de skal gå videre til næste fase eller afbryde afprøvning af behandling eller procedure, fordi det var usikkert eller ineffektivt. Når et fase III-forsøg er afsluttet, undersøger forskerne informationen og afgør, hvorvidt resultaterne har medicinsk betydning.

Resultater fra kliniske forsøg offentliggøres ofte i peer-reviewed videnskabelige tidsskrifter. Peer review

er en proces, hvor eksperter gennemgår rapporten, inden den offentliggøres for at sikre, at analysen og konklusionerne er holdbare. Hvis resultaterne er særligt vigtige, kan de være omtalt i nyhederne og diskuteret ved videnskabelige møder og af patientforeninger før eller efter at de er offentliggjort i et videnskabeligt tidsskrift. Når en ny medicinsk løsning har vist sig at være sikker og effektiv i et klinisk forsøg, kan Lægemiddelstyrelsen eller Sundhedsstyrelsen godkende behandlingen til brug i sundhedsvæsenet.

Resultaterne af kliniske forsøg skal udgives i offentligt tilgængelige, anonyme registre.

Registre for kliniske forsøg

I Europa indsamler EU's database vedrørende kliniske forsøg (EudraCT), som hører under Det Europæiske Lægemiddelagentur, oplysninger om alle kliniske forsøg med lægemidler, der udføres i Europa.

Fra og med juli 2014 gør denne database også sammenfattede forsøgsresultater tilgængelige for offentligheden. For forsøg, der udføres i EU med start efter den 1. januar 2015, skal disse resultater offentliggøres, uanset om de har positive eller negative konsekvenser.

Verdenssundhedsorganisationen (WHO) sætter via sin internationale registerplatform for kliniske forsøg (IC-TRP) internationale standarder for registrering og rapportering af alle kliniske forsøg.

I USA har ClinicalTrials.gov-registeret en lignende funktion. Registret giver offentligheden adgang til information om og resultater fra kliniske studier inden for en bred vifte af sygdomme og tilstande – både for kommercielle og ikke-kommercielle forsøg.

Yderligere læsning

EUPATI: Kliniske forskningsresultater: Offentliggørelse