

Investigatorinitierede protokoller med lægemidler klassificeret som orphan drugs og lægemidler, som er afvist af Medicinrådet som standardbehandling

Indledning og formål

Regionernes lægemiddelkomitéer (eller analoge fora – herefter omtalt som lægemiddelkomité) skal ansøges før iværksættelse af investigatorinitierede protokoller med lægemidler klassificeret som orphan drugs og lægemidler, som Medicinrådet har afvist som standardbehandling.

Formålet med denne procedure er at sikre lige adgang til behandling for landets patienter samt at undgå, at lægemidler klassificeret som orphan drugs og lægemidler, som er afvist som standardbehandling af Medicinrådet, tages i brug til en specifik patientpopulation på en måde, som i praksis er standardbehandling.

Formålet med nærværende vejledning er at sikre klare retningslinjer for regionernes hospitaler ved ønske om at iværksætte en videnskabelig protokol med et lægemiddel klassificeret som et orphan drug, som Medicinrådet ikke har vurderet, eller et lægemiddel, som Medicinrådet har afvist som standardbehandling. Herudover har vejledningen til formål at sikre, at de nødvendige beslutningsprocesser overholdes, samt at de relevante parter inddrages i beslutningen.

Definitioner

Ved investigatorinitieret studie/protokol forstås en protokol, hvor lægemidler klassificeret som orphan drugs eller lægemidler, som er afvist som standardbehandling af Medicinrådet, indgår alene eller i kombination med anden behandling. Protokollen initieres af kliniske afdelinger eller personer fra en klinisk afdeling på eget initiativ eller på opfordring fra samarbejdspartner i offentligt regi (ikke seeding trial).

Ved orphan drug forstås et lægemiddel, som er klassificeret som orphan drug af EMA (EMAs definition af [orphan designation](#)). Et orphan drug er kendetegnet ved at være udviklet til behandling af en sjælden sygdom.

Målgruppe

Målgruppen er alle hospitaler i de fem regioner, som ønsker at iværksætte en videnskabelig protokol med:

1. Et lægemiddel klassificeret som et orphan drug, som Medicinrådet ikke har vurderet eller
2. Et lægemiddel, som Medicinrådet har afvist som standardbehandling.

Tværregionalt Forum for Koordination af Medicin skal kun ansøges, når protokollen ikke har fuld ekstern finansiering af den medikamentelle behandling. Protokoller, hvori den anvendte medicin fuldt ud finansieres af en eller flere lægemiddelvirksomheder, skal således ikke forelægges Tværregionalt Forum for Koordination af Medicin.



REGION NORDJYLLAND
– i gode hænder



Region Syddanmark



regionmidtjylland



REGION SJÆLLAND

– vi er til for dig



Region
Hovedstaden

Baggrund

Protokolleret lægemiddelbehandling med systematisk indsamling af data for effekt, bivirkninger m.v. er en vigtig kilde til data, som kan forbedre lægemiddelbehandlingen. Regionerne efterspørger ofte effektdata fra fase IV-studier (efter markedsføring), idet lægemidlerne ofte tages i brug i en bredere population end i registreringsstudierne. Investigatorinitierede protokoller risikerer dog at underminere beslutninger truffet i Medicinrådet, hvis de omhandler lægemidler, som er afvist som standardbehandling. Det kan fx ske, hvis én region iværksætter protokolleret behandling med et afvist lægemiddel og inkluderer patienter på tværs af regionerne.

For at sikre et ensartet behandlingstilbud på tværs af regionerne vedtog sundhedsdirektørkredsen i marts 2018 de overordnede principper for nærværende tværregionale vejledning:

1. Investigatorinitierede protokoller bør som udgangspunkt være nationale, således at protokolleret behandling vil kunne tilbydes på alle landets behandlingssteder for den pågældende sygdom, jf. specialeplan.
2. Iværksættelse af protokoller, som vedrører lægemidler, der er afvist som standardbehandling af Medicinrådet, og lægemidler klassificeret som orphan drugs, skal drøftes i Tværregionalt Forum for Koordination af Medicin, inden de sættes i gang. Dette gør sig gældende, uanset om protokollen gennemføres i en enkelt region eller i flere regioner. Der skal arbejdes for en konsensusløsning med det formål at sikre ensartede behandlingstilbud på tværs af alle regioner. Hvis konsensus opnås, indleder lægemiddelkomitéen i investigators region en dialog med Amgros, som på vegne af regionerne vil vurdere, om det er relevant at forhandle prisen på de lægemidler, som indgår i den protokollerede behandling. Amgros' prisforhandling må ikke forsinke igangsættelse af protokollen væsentligt.
3. Hvis Tværregionalt Forum for Koordination af Medicin ikke kan opnå konsensus, påhviler det investigator og investigators region at afholde alle direkte og indirekte omkostninger forbundet med iværksættelse af protokollen, herunder udgiften til lægemiddelbehandling, inklusive behandling af patienter bosiddende i andre regioner.
4. Hvis protokollen iværksættes, påhviler det investigator at sikre det nødvendige økonomiske grundlag samt lige adgang for deltagelse i protokollen for alle patienter, uafhængig af patientens bopælsregion. Ønsker investigators egen region ikke at finansiere protokollen, må investigator søge lokal eller ekstern finansiering.

Beskrivelse af procedure for godkendelse

Når en investigator planlægger at iværksætte en protokolleret behandling med lægemidler klassificeret som orphan drugs eller lægemidler, som er afvist som standardbehandling af Medicinrådet, skal vedkommende sende et ansøgningsskema (bilag 1) via hospitalsledelsen (eller afdelingsledelsen med hospitalsledelsens godkendelse) til den regionale lægemiddelkomité.

Den regionale lægemiddelkomité skal udarbejde en sagsfremstilling indeholdende en indstilling, som sammen med ansøgningsskemaet skal sendes til sekretariatet for Tværregionalt Forum for Koordination af Medicin senest 40 dage inden det møde, hvor protokollen ønskes drøftet.



REGION NORDJYLLAND
– i gode hænder



Region Syddanmark



regionmidtjylland



REGION
SJÆLLAND

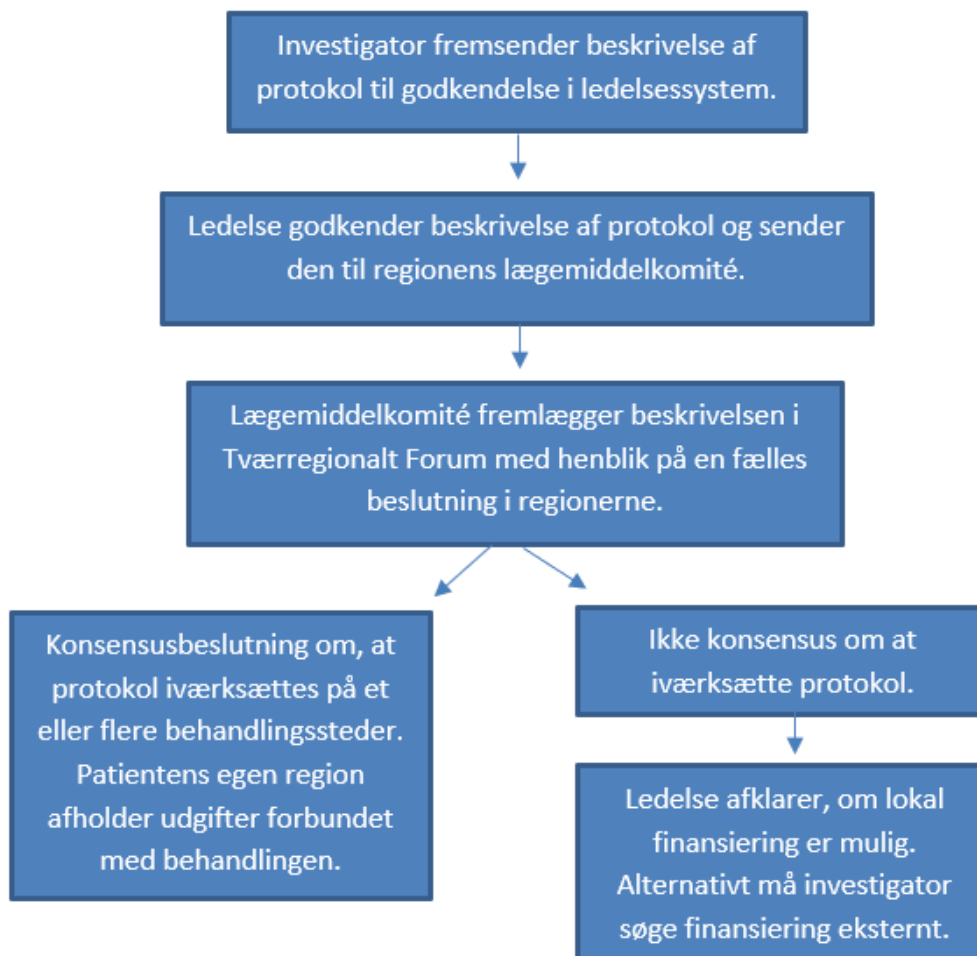
- vi er til for dig



Region
Hovedstaden

Som udgangspunkt vil Tværregionalt Forum for Koordination af Medicin drøfte iværksættelsen af en protokol på det førstkommende møde. Der kan dog være tilfælde, hvor en region har yderligere behov for at drøfte protokollen internt i regionen efter et møde. Da skal regionen inden for 30 dage efter mødet tilkendegive, hvorvidt regionen ønsker at tiltræde protokollen. Processen er skitseret i figur 1 nedenfor.

Figur 1: Procedure for tværregional vurdering om iværksættelse af investigatorinitierede protokoller



REGION NORDJYLLAND
- i gode hænder



midt
regionmidtjylland

REGION
SJÆLLAND
- vi er til for dig



Region
Hovedstaden

Kontaktinformationer

De regionale lægemiddelkomitéer

Region Hovedstaden

Kontakt: Henrik Thomsen (rlk@bbh.regionh.dk)

Region Midtjylland

Kontakt: Ann Dalgaard Johnsen (anndjo@rm.dk)

Region Nordjylland

Kontakt: Rikke S. Nielsen-Man (rsnm@rn.dk)

Region Sjælland

Kontakt: Lægemiddelkomitéen (rs-lmk@regionsjaelland.dk)

Region Syddanmark

Kontakt: Jørn Frydendall (Joern.Frydendall@rsyd.dk)

Sekretariatet for Tværregionalt Forum for Koordination af Medicin

Kontakt: Charlotte Pedersen (charlotte.pedersen.09@regionh.dk)

Vejledningen er godkendt af Tværregionalt Forum for Koordination af Medicin og er gældende fra 1. februar 2019.



REGION NORDJYLLAND
– i gode hænder



Region Syddanmark

midt
regionmidtjylland

REGION
SJÆLLAND
- vi er til for dig



**Region
Hovedstaden**