



Holbergsgade 6
DK-1057 København K

T +45 7226 9000
F +45 7226 9001
M sum@sum.dk
W sum.dk

Folketingets Sundheds- og Ældreudvalg

Dato: 14. december 2015
Enhed: Psykiatri og Lægemiddel-
politik
Sagsbeh.: DEPMSOT
Sagsnr.: 1507067
Dok. nr.: 1838733

Folketingets Sundheds- og Ældreudvalg har den 16. november 2015 stillet følgende spørgsmål nr. 89 (Alm. del) til sundheds- og ældreministeren, som hermed besvares. Spørgsmålet er stillet efter ønske fra Liselott Blixt (DF).

Spørgsmål nr. 89:

"En amerikansk medicinalvirksomhed har opfundet et nyt præparat, GM604, der skulle kunne forlænge levetiden med op til 30 år for ALS-patienter. Præparatet er i tredje fase og kan derfor anvendes eksperimentelt og Lægemiddelstyrelsen har givet tilladelse hertil. Vil ministeren i den forbindelse redegøre for følgende:

- hvad har man fra regionernes side gjort for at opnå en aftale med medicinalvirksomheden om en gunstig pris, og har medicinalvirksomheden tilbudt en alternativ løsning, da medicinalvirksomheder ofte selv betaler for forsøg?
- hvor mange penge er der afsat til eksperimenterende behandlinger, og hvor mange penge er der anvendt de seneste 5 år?"

Svar:

Eksperimentel behandling er behandling, hvor der ikke findes samme dokumentation for, at den virker, som for de behandlinger, der normalt gives. Der skal dog være en vis sandsynlighed for, at behandlingen kan gavne patienten. Eksperimentel behandling er reguleret af regler for, i hvilke tilfælde en sådan behandling iværksættes.

Til brug for besvarelse af spørgsmålet vedr. præparatet GM604 har Lægemiddelstyrelsen oplyst følgende, som jeg kan henholde mig til:

"GM604 er ikke godkendt til markedsføring i hverken Danmark, EU eller i USA, og der foreligger aktuelt ingen ansøgninger herom. Der er foregået ikke kliniske forsøg med GM604 i Danmark.

Der er i USA udført et meget lille placebo-kontrolleret fase 2 forsøg med GM604, hvor der indgik 8 patienter i behandling med GM604 og 4 patienter som fik placebo. Forsøget er ikke publiceret og resultaterne foreligger kun som en indberetning til de amerikanske lægemiddelmyndigheder FDA. GM604 synes ikke at påvirke progressionen i den neurodegenerative sygdom, og de positive effekter ses kun på såkaldt surrogat endemål, en meget lille numerisk bedring i et mål for lungefunktion (FVC) og et meget lille fald i sygdomsscore. Ingen af disse forskelle når statistisk signifikans, og man kan i høj grad betvivle om disse små forskelle er klinisk relevante endside kan registreres af patienten selv som en reel bedring. En vurdering af den kliniske relevans må også afgøres af eksperter i ALS. Desuden er der fundet nogle forskelle i biokemiske markører, hvis kliniske betydning er højst usikker.

Udviklingen af GM604 befinder sig på et så tidligt stadium, at man kun kan betragte lægemidlet som eksperimentel behandling, dvs. at der bør udføres mange flere kliniske forsøg omfattende betydeligt flere patienter før man konkludere noget definitivt

om GM604. Ifølge firmaet Genervons oplysninger til Lægemiddelstyrelsen vil de indsende protokol for et fase 3 forsøg til FDA. Det vides ikke om dette er sket.

Desuden kan det oplyses, at Lægemiddelstyrelsen efter ansøgning fra en hospitalslæge har udstedt en udleveringstilladelse til GM604 til behandling af en enkelt patient med ALS.”

Til brug for besvarelsen af spørgsmålet har Danske Regioner desuden bl.a. oplyst følgende:

”Ad. 1 vedrørende aftale med virksomheden

Danske Regioner kan oplyse, at lægemiddelstoffet GM604 er udviklet til behandling af forskellige neurologisk degenerative lidelser, herunder i særdeleshed amyotrofisk lateral sklerose (ALS).

Der er en leverandør af GM604, som har et (fase 2) pilotstudie med otte amerikanske patienter i aktiv behandling. Formålet med pilotstudiet var ikke at dokumentere effekten af stoffet, men kun at fastlægge dosis, bivirkninger mv. Præparatet er således ikke, som anført i folketingsspørgsmålet, i fase 3.

GM604 er endnu ikke godkendt af Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA) til markedsføring i EU, hvorfor regionernes fælles indkøbsorganisation AmgroS heller ikke har været i forhandling med leverandøren med henblik på at opnå en gunstig pris.

Leverandøren af GM604 har mulighed for at tilbyde patienter behandling gennem kliniske forsøg, forudsat at der er et lokalt ønske om at deltage. Når lægemidler bliver afprøvet i kliniske forsøg (fase I, II eller III), betaler leverandøren for såvel lægemidlet som de øvrige omkostninger forbundet med afprøvningen.

Danske Regioner er p.t. ikke bekendt med, at der er indgået aftaler mellem leverandøren og de enkelte regioner om alternative finansieringsløsninger.

Det er generelt regionernes vurdering, at der kan stilles spørgsmål ved om et lægemiddelstof på så tidligt et udviklingsstadium som GM604 skal tilbydes patienter. Der bør optimalt være klinisk relevante data, der kan understøtte, at et næsten uafprøvet, ikke godkendt lægemiddel skal testes i et ikke-protokolleret miljø. Hensigtsmæssigt bør et lægemiddelstof også undergå en fase-3 undersøgelse med relevante kliniske endepunkter i en større patientpopulation.

Ad. 2 vedrørende budget for eksperimenterende behandling

Anvender en afdeling ikke-markedsførte lægemidler, bliver disse enten finansieret af afdelingen selv eller af leverandøren. Det gælder ved kliniske forsøg og ved brug af ikke-markedsførte lægemidler, som sygehusafdelingen kun må anvende efter udleveringstilladelse fra Lægemiddelstyrelsen.

Regionerne har ikke særskilte budgetter til eksperimenterende behandlinger. Oplysningerne skal derfor indhentes fra de enkelte afdelinger. Det har derfor ikke været muligt indenfor tidsfristen at indhente oplysningerne.

Førend at regionerne kan opgøre, hvor mange penge er der afsat til eksperimenterende behandlinger, og hvor mange penge er der anvendt de seneste 5 år, er der behov for en præcisering af spørgsmålet. Dette skyldes, at eksperimenterende – eller ek-

sperimentel – behandling er et vidt begreb, som spænder over mange forskellige midler, puljer og fonde, samt typer behandling og forskning, der kan opgøres på flere måder.”

Afslutningsvis skal jeg bemærke, at ministeriet har foretaget en vurdering af, om belysning af omfanget af de offentlige sygehuses udgifter, som medgår til at udføre eksperimentel behandling, fremgår af sygehusenes indberetninger til Landspatientregisteret. Registreringer om, hvorvidt en udført behandling på sygehusene i henhold til indberetning i Landspatientregisteret er eksperimentel, er dog frivillig. På den baggrund vurderes det, at opgørelser på denne baggrund er mangelfulde og er derfor ikke medtaget.

Med venlig hilsen

Sophie Løhde / Marie Simone Ottesen