

FÖR DIG MED BLODSJUKDOM

ATT DELTA I EN KLINISK STUDIE

– det här behöver du veta

Detta informationsmaterial är framtaget i samarbete med:

Cecilie Hveding Blimark,

överläkare vid sektionen för hematologi och koagulation,
Sahlgrenska Universitetssjukhuset, Göteborg.

Hege Gravdahl Garelius,

överläkare vid Anemi-leukemiteamet på Sahlgrenska
Universitetssjukhuset i Göteborg.



An elderly man with white hair, wearing a dark blue cap, a dark green rain jacket, blue trousers, and green rubber boots, is walking away from the camera through a forest. He is carrying a large, round, woven wicker basket in his right hand. The forest floor is covered in a thick layer of bright green moss. Tall, slender trees with brown trunks are visible in the background, and the scene is softly lit, suggesting a misty or overcast day.

"De senaste decenniernas stora framsteg inom behandlingen av blodcancer hade knappast varit möjliga utan kliniska läkemedelsstudier."

ATT DELTA I EN KLINISK STUDIE

– det här behöver du veta

De senaste decenniernas stora framsteg inom behandlingen av blodcancer hade knappast varit möjliga utan kliniska läkemedelsstudier. Dessa studier bygger på att patienter frivilligt har genomgått behandling med nya preparat och metoder i en kontrollerad miljö – ibland med osäkert resultat.

Myelom är ett bra exempel. Sjukdomen anses visserligen fortfarande obotlig, men genom framgångsrik forskning och utveckling har behandlingsarsenalen kunnat utökas med mer än tio nya behandlingar och läkemedelskombinationer bara på 2000-talet – tack vare dessa patienters och forskares insatser.

Kliniska studier kan ha olika upphovsmän. De kan initieras av läkare eller forskargrupper, då kallas det prövarinitierade eller akademiska studier.

Processen som leder till ett godkännande av en ny behandling är lång och mödosam. Först måste man försäkra sig att om behandlingen är effektiv samtidigt som den inte får vara skadlig för patienten dvs. att nyttan överstiger eventuella biverkningar.

I Europa är det European Medicines Agency (EMA) och i Sverige Läkemedelsverket som står för godkännandet av nya läkemedel och som kontrollerar de studier som ligger till grund för ansökan.

Patienter kan ha olika motiveringar för att delta i studier. Man vill kanske få tillgång till nya behandlingar eller metoder som man har läst om och som verkar lovande. I andra fall väljer man att delta i en studie trots att deltagandet kanske enbart kommer att hjälpa patienter i framtiden, eller så vill man helt enkelt bidra till att föra vetenskapen framåt. Oavsett motivering är patienterna den viktigaste resursen och deras insatser ovärderliga.

I detta informationsmaterial vill vi berätta vad läkemedelsstudier går ut på och varför de är viktiga – detta för att ge dig de verktyg

du behöver för att kunna fatta ett korrekt och informerat beslut om du skulle vilja delta i en studie. Du kommer att få svar på vanliga frågor om studier, men också tips på frågor att ställa till din läkare om du skulle överväga att delta i en studie.

Oavsett om du beslutar dig att delta i en studie eller inte ska du veta att du har rätt att bli informerad om alla behandlingsalternativ som står till buds i din situation och att dina behandlare inte själva har något att vinna på ditt deltagande. Ett rigoröst regelverk reglerar de patenträttsliga och etiska aspekterna av en studie för att skydda dig som patient.

Vi hoppas att du ska ha glädje och nytta av informationen som följer.



Cecilie Hveding Blimark,

Vårdenhetsöverläkare vid Myelomteamet på Sahlgrenska Universitetssjukhuset i Göteborg



Hege Gravdahl Garelius,

Överläkare vid Anemi-leukemiteamet på Sahlgrenska Universitetssjukhuset i Göteborg

VAD ÄR EN KLINISK STUDIE?

Vad är en klinisk läkemedelsstudie?

Kliniska studier, eller kliniska prövningar, är forskningsstudier som genomförs på människor för att utvärdera en behandling eller metod – om den är säker och effektiv. Ofta används kliniska studier också för att undersöka om ett läkemedel är effektivare eller har mindre biverkningar än den befintliga standardbehandlingen.

Kliniska studier följer ett på förhand bestämt studieprotokoll som i detalj beskriver vad som ska göras i de olika stegen. Studier på läkemedel delas vanligen in i fyra faser, ofta benämnda med romerska siffror från I till IV.

I fas I prövas ett läkemedel på ett mindre antal, vanligen mellan 20 och 80 personer. Syftet med den första fasen är att bedöma läkemedlets säkerhet och biverkningar samt att pröva sig fram till en lämplig dos.

I fas II ligger fokus på att utvärdera läkemedlets effekt vid en viss sjukdom. Som regel deltar fler patienter än i fas I.

I fas III-studien studeras ännu större patientgrupper, ibland upp till några tusen. I dessa studier är det vanligt att studieläkemedlet jämförs med antingen placebo, icke verksamt substans, eller ett annat (redan godkänt) läkemedel, mer om detta nedan. Även här utvärderas säkerhet och effekt, men ofta även eventuella skillnader mellan olika undergrupper av patienter och doser samt hur studieläkemedlet fungerar i kombination med andra läkemedel. Om fas III faller väl ut kan resultaten ligga till grund för en ansökan om god kännande hos regulatoriska myndigheter.

Fas IV tar vid efter att läkemedlet blivit godkänt för användning. Då övervakas effekt och säkerhet i stora populationer, bland annat för att kunna upptäcka eventuella sällsynta biverkningar som inte observerats i de tidigare faserna.

Vilka fördelar finns med att delta i en klinisk studie?

Svaren på denna fråga kan variera stort från fall till fall, men generellt bör man kunna anföra följande punkter:

- Du spelar en mer aktiv roll i din egen vård.
- Som studiedeltagare får du inte sällan ett mer omfattande omhändertagande och tätare kontroller än du hade fått genom din vanliga behandling.
- Att delta i en klinisk studie ger dig möjligheten att hjälpa andra att få en bättre behandling i framtiden.
- Du kan få en ny och lovande behandling innan den är tillgänglig för alla.

Vilka nackdelar och eventuella risker finns det?

Även här kan stora skillnader förekomma, men som regel gäller följande:

- Den nya behandlingen kan orsaka biverkningar eller obehag.
- Den nya behandlingen kanske inte fungerar så väl som man hoppats, eller är kanske inte bättre än standardbehandlingen.
- Om det är en så kallad blindad studie kanske du har lottats till kontrollgruppen. I sådana fall får du standardbehandling istället för studieläkemedlet.
- Den kliniska prövningen kan medföra besvär. Till exempel kan olika besök och provtagningar ta mycket tid och du kan behöva resa till eller stanna kvar på sjukhuset mer än du annars hade behövt. Studiedeltagandet kan också innebära vissa restriktioner på din livsstil, exempelvis rörande matvanor.



"Som studiedeltagare får du inte sällan ett mer omfattande omhändertagande och tätare kontroller än du hade fått genom din vanliga behandling."

"Efter att du har fått svar på eventuella frågor och om du tackat ja till att delta undertecknar du ett formulär som kallas *informerat samtycke*."



Hur vet man att studien besvarar de avsedda frågorna?

I kliniska studier är det vanligt att man dels har en kontrollgrupp, patienter som får exakt samma behandling med det avgörande undantaget att de **inte** får studieläkemedlet. Detta för att kunna göra relevanta jämförelser när man bedömer den nya behandlingen.

För att försäkra sig om att det är just läkemedlets effekt och inget annat man studerar brukar man lotta deltagarna till antingen den grupp som får den nya behandlingen eller till kontrollgruppen. Detta kallas randomisering och görs för att få ett balanserat och representativt urval av patienter till de båda grupperna. Om du deltar i en randomiserad studie är det således inte alltid säkert att du får studieläkemedlet.

Därutöver är det vanligt att varken studiedeltagare eller provningspersonal vet vilken patient som får vilken behandling. Detta kallas för dubbelblindning och syftar till att minska risken för påverkan av förväntningar. Vid denna typ av studie får man först när studien avslutas veta vem som fått vilken behandling.

Vem kan delta?

I alla kliniska läkemedelsstudier sätter man upp så kallade inklusionskriterier, alltså noggrant specificerade kriterier som patienter måste uppfylla för att få delta. Det kan handla om vilken typ av den aktuella sjukdomen man har, kön och ålder, vilka behandlingar man fått tidigare samt prov- och undersökningsresultat.

En annan typ av inklusionskriterium som ofta förekommer handlar om samsjuklighet, alltså om man har några andra sjukdomar som kan tala emot att delta i studien. Till exempel är det många myelomstudier som inte tar med patienter med svår njursjukdom, något som kan drabba myelompatienter. Eftersom man tittar på dessa kriterier på förhand är det många patienter som inte blir tillfrågade om att delta eller informerade om en viss studie.

Vad betyder "informerat samtycke"

Innan du eventuellt går med i studien ger studiepersonalen grundlig information och förklarar i detalj hur studien kommer att gå till. Därutöver samlar studiepersonalen in mer information om dig för att se om du passar i studien.

Efter att du har fått svar på eventuella frågor och om du tackat ja till att delta undertecknar du ett formulär som kallas **informerat samtycke**. Detta dokument, vars utformning är noggrant reglerat av Etikprövningsmyndigheten, ska bland annat innehålla en tydlig beskrivning av bakgrund och övergripande syfte med studien. Det ska också framgå varför just du har blivit tillfrågad och hur man fått tillgång till dina person och kontaktuppgifter.

Vidare ska det ingå information om vilka metoder som kommer att användas, beräknat antal besök på mottagning som kommer att krävas, eventuella provtagningar, intervjuer, tester och så vidare. Av dokumentet ska det också framgå hur prover och analysresultat kommer att hanteras.

Det informerade samtyckesdokumentet ska även redogöra för eventuella obehag som kan uppstå, både fysiska och psykiska, samt hur dessa kommer att hanteras.

Om det är något som är oklart eller otydligt så fråga gärna studiepersonalen. Det är viktigt att du känner att du har förstått vad du kommer att genomgå.

Så här kan det stå i formuläret (autentiskt exempel):

Jag har läst samtyckesformulär för personuppgifter. Jag har fått tillfälle att ställa frågor och mina frågor har besvarats till min belåtenhet. Genom att skriva under detta formulär samtycker jag frivilligt att delta i forskningsstudien och jag godkänner användning av min personliga hälsoinformation.

- Jag är medveten om att alla medicinska uppgifter som kan avslöja min identitet inklusive mina prover kommer att hanteras konfidentiellt.
- Jag har informerats om att principerna för Dataskydd beaktas.
- Jag är informerad om att mina prover ska lagras i en Biobank.
- Jag är medveten om att jag, när som helst, kan dra tillbaka mitt samtycke utan förklaring och utan att detta påverkar min medicinska vård i framtiden.
- Jag är medveten om att jag kommer att få en kopia av detta underskrivna samtyckesformulär.

¹ Med principerna för dataskydd avses de regelverk som styr hur vården får registrera och använda personuppgifter. Läs mer om detta på 1177.se under rubriken "Personuppgifter i vården".

² En biobank är en samling av prover (såsom blod-, urin- och vävnadsprover) som tas i hälso- och sjukvården och som sparas mer än två månader. Hur proverna får sparas och användas regleras i biobankslagen som du kan läsa mer om på 1177.se under rubriken "Biobankslagen".

Kan jag som patient påverka mitt deltagande i en klinisk studie?

Man kan alltid efterfråga om det finns en klinisk studie på mottagningen där man går. Det går också att söka själv efter pågående studier och kanske det finns på annat ställe i Sverige. Man kan då begära att bli remitterad till det sjukhuset. Inklusions- och exklusionskriterier kan man dock aldrig påverka då detta skulle äventyra studiens vetenskaplighet. Av samma skäl kan man som patient inte heller påverka vilken behandling man randomiseras (lottas) till i en randomiserad studie.

1. STARTA DIN MOBILKAMERA OCH RIKTA DEN MOT KODEN.
2. TRYCK PÅ NOTISEN FÖR ATT ÖPPNA LÄNKEN SOM ÄR KOPPLAD TILL QR-KODEN.

AKTUELLA PÅGÅENDE STUDIER I SVERIGE.



<https://cancercentrum.se/samverkan/vara-uppdrag/forskning/cancerstudier-i-sverige>

PÅGÅENDE AKTUELLA STUDIER BÅDE I SVERIGE OCH INTERNATIONELLT.



<https://www.clinicaltrials.gov/>

Vilka är mina rättigheter som deltagare i en klinisk studie?

Det är alltid helt frivilligt att delta i en klinisk studie. Likaså är det helt upp till dig om du vill vara kvar som deltagare eller om du vill hoppa av. Du behöver inte ange några särskilda skäl om du inte längre vill vara med.

Du har rätt att få fortlöpande information under studietiden och är det någon information du saknar har du alltid rätt att ställa frågor till den som ansvarar för prövningen. En studie kan pågå under många år så det är mycket möjligt att några färdiga resultat inte kommer bli klara under den tid som du deltar i studien.

Vilket skydd har jag som deltagare?

Man kan aldrig utlova att det är *helt* riskfritt att delta i en klinisk studie. Därför måste det alltid finnas ett försäkringsskydd som kan ersätta deltagare för eventuella studierelaterade skador. Många av de företag och organisationer som bedriver klinisk studieverksamhet är anslutna till Läkemedelsförsäkringen och i vissa fall kan ersättning fås från patientförsäkringen. Information om vilket försäkringsskydd som gäller ska alltid framgå tydligt i dokumentet för informerat samtycke.

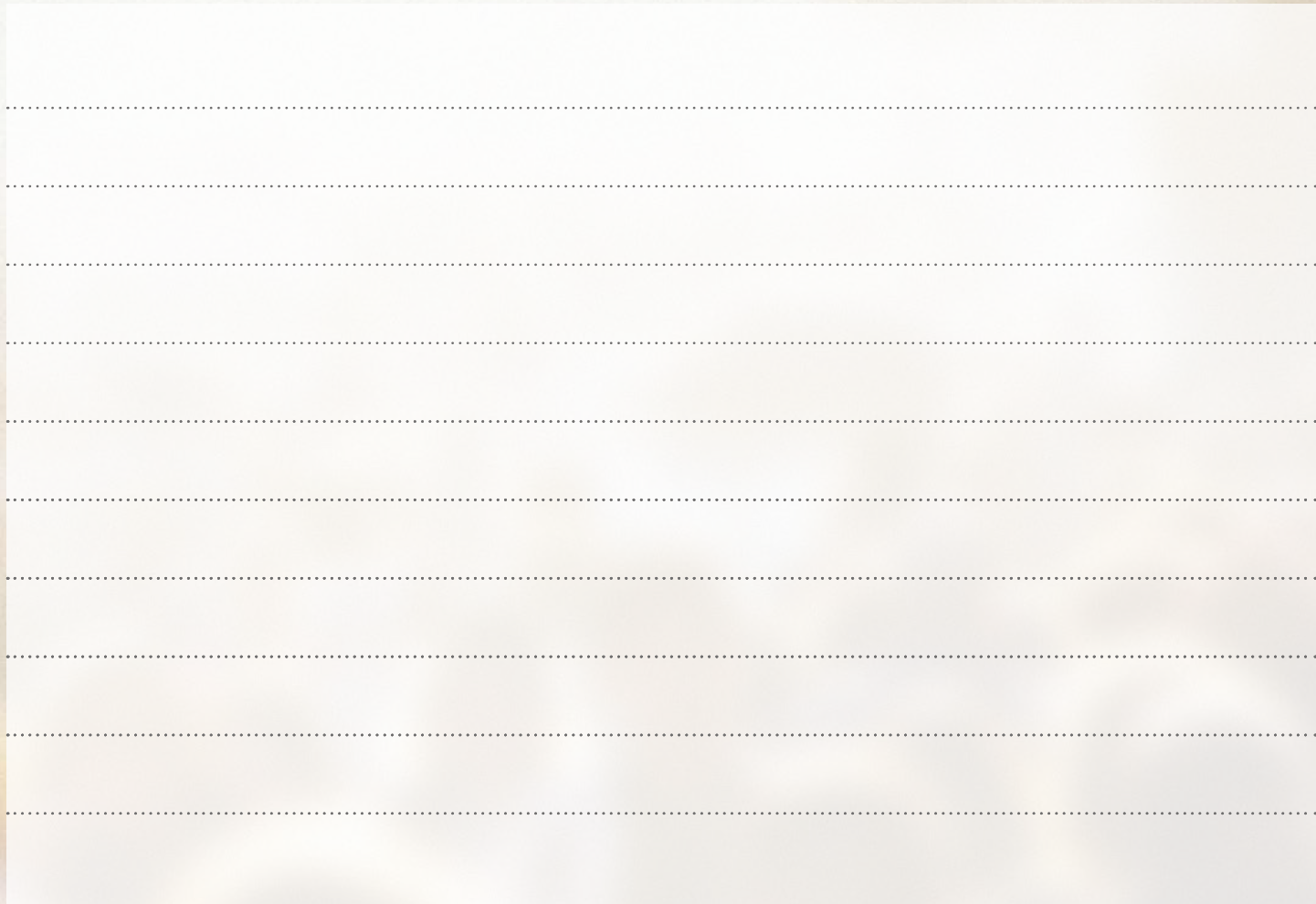


"Det är alltid helt frivilligt att delta i en klinisk studie. Likaså är det helt upp till dig om du vill vara kvar som deltagare eller om du vill hoppa av."

TIPS PÅ FRÅGOR ATT STÄLLA OM DEN SPECIFIKA STUDIEN

- Vad är syftet med studien?
- Exakt vilka frågor är studien tänkt att besvara?
- Vilka är de inledande undersökningarna? Hur många planerade besök, med vilka intervall, måste jag fasta, vilka interventioner etc.? Hur länge pågår studien och vilka undersökningar kommer jag att genomgå?
- Vad vet man om studieläkemedlet?
- Vilken behandling kommer jag att få?
- Hur skall jag ta min behandling? Kan jag ta andra läkemedel samtidigt? Finns det någon annan behandling att tillgå? Finns studieläkemedlet att tillgå efter studiens slut? Om jag lottas till kontroll-/placeboarm, finns möjlighet till att få studieläkemedlet vid återfall, så kallad cross-over?
- Hur kommer mina prover att hanteras?
- Ingår genanalyser? Om ja, vilka? Hur förvaras mina prover? Vidtas åtgärder för att säkra min integritet (kodning eller liknande)? Kan resultaten av genanalyserna ha implikationer för mina släktingars hälsa?
- Vilka risker eller obehag tros kunna vara förknippade med studien?
- Hur får jag information om studiens resultat?
- Får jag någon ersättning? (För själva deltagandet? För resor och/eller andra omkostnader?)
- Vad händer vid eventuella skador, om mitt hälsotillstånd försämras eller något går fel? Vilket försäkringsskydd finns?
- Ett bra tips är att läsa avsnittet: Ersättning vid patientskada på 1177.se.
- Vad händer med min behandling om jag avbryter studien i förtid?
- Kan jag vara med i framtida studier om jag avbryter i förtid? Var kan jag vända mig om jag har frågor eller om det är något jag inte förstår?
- Kan jag vara med i studien om jag är eller planerar att bli gravid?
- Kan jag ta paus från behandlingen i studien, om jag till exempel ska åka på semester?

ANTECKNINGAR

A large white rectangular area with horizontal dotted lines, intended for taking notes. The lines are evenly spaced and run across the width of the rectangle.



Gustav III:s Boulevard 54, 169 27 Solna.
08-695 11 00
www.amgen.se