

Bedöma värdet av resultaten från kliniska prövningar

Inledning

Alla kliniska prövningar är inte jämförbara. Som hjälp att avgöra hur stor vikt man ska ge kliniska prövningar kan man ställa sig några nyckelfrågor.

Hur bra är prövningen upplagd?

Det finns inget perfekt upplägg av en klinisk prövning – det handlar mer om att hitta ett optimalt sätt enligt förutsättningarna. Stora prövningar är i regel mer trovärdiga än små, som måste tolkas med sunt förnuft. Som exempel kan en prövning som gäller en ovanlig ärftlig enzymdefekt aldrig omfatta 5 000 patienter, vilket man däremot ofta ser i prövningar av hjärtattacksläkemedel. På motsvarande sätt är en uppföljningsperiod på några få veckor helt godtagbar i prövningar för lunginflammation men är olämplig för ett p-piller. Kontrollgrupper med placebo kan vara till god hjälp vid tolkning av vissa resultat men helt oetiskt i andra situationer (t.ex. livshotande sjukdomar där det finns effektiva behandlingar). Komparativa prövningar är det bästa sättet att bedöma effekt medan stora och långa oblandade prövningar ger mer insikt om medicinsk säkerhet i realiteten.

Varje prövningsupplägg måste testas med frågan: Var det här det bästa sättet under rådande omständigheter?

Motsvarar den studerade

patientpopulationen den jag är intresserad av?

Information från en prövning som utförts på vuxna från 18 till 65 kan ha begränsad relevans för äldre patienter och är helt olämplig som vägledning vid behandling av spädbarn. På motsvarande sätt kanske personer med allvarlig eller långt framskriden sjukdom responderar på helt olika sätt än de med lindrigare eller tidigare sjukdom.

Hur relevanta är utfallen?

Vissa sjukdomar och symtom är enklare än andra att studera i en klinisk prövning. Att ett nytt cancerläkemedel ökar den genomsnittliga överlevnaden med ett år är tveklöst ett relevant mått. En ny smärtlindrare som används för att behandla patienter är dock mycket svårare att bedöma eftersom det inte finns några standardmått för att beskriva smärta. Allt man kan göra är att ställa sig frågan om den valda metodiken är optimal för omständigheterna.

Var effekterna från läkemedlet av kliniskt värde?

Generellt kan man säga att ju större effekt ett läkemedel ger, desto bättre. Alla läkemedel har ett pris, både i pengar och biverkningar. Syftet är att få största möjliga "valuta för pengarna". Det är viktigt att komma ihåg att ett resultat som ser blygsamt ut rent allmänt sett kan innebära en dramatisk förbättring hos vissa patienter och inga alls hos andra. Om man vid ytterligare forskning kan identifiera vilken undergrupp som responderar särskilt bra, kan det nya läkemedlet ha mycket att erbjuda den målpopulationen.

Hur stämmer resultaten från den kliniska prövningen ihop med tidigare kunskap?

Det är mycket ovanligt att en klinisk prövning är den enda tillgängliga informationen för ett visst medicinskt område. Om så ändå skulle vara fallet är det vanligen ett tecken på att det är första gången en radikalt ny behandling används. Då kan man notera resultaten som intressanta och vänta tills det kommer uppföljande prövningar som stöder teserna. Det är mycket mer vanligt att det har utförts tidigare prövningar med samma läkemedel eller av samma typ på samma sjukdom eller relaterade sjukdomar. De nya resultaten från kliniska prövningar kan då ses i ljuset av den tidigare kunskapen. Fynd som stämmer bra överens med vad man tidigare känt till är vanligen enklare att acceptera än sådana som står i direkt konflikt med tidigare resultat. Det är dock viktigt att ha ett öppet sinne.

Bilagor

A2-4.34.3-v1.2