Utmaningar inom personanpassad medicin

Personanpassad medicin kräver utveckling av målinriktade läkemedel.

För att framsteg ska kunna göras inom personanpassad medicin måste nya fynd från molekylär forskning och nya tekniker (till exempel ”omik”-tekniker) omsättas (anpassas) för användning inom läkemedelsutveckling och godkänd behandling.

En fördel med utveckling av målinriktade läkemedel är emellertid ökad effektivitet vid kliniska prövningar.Färre nya läkemedel bör misslyckas i varje stadium av utvecklingsprocessen om de målinriktas mot en känd sjukdomsorsak, och användningen av biomarkörer kommer att bli mycket betydelsefull för den personanpassade medicinen.Validering av biomarkörer som unika och prediktiva för behandlingsresultatet måste ha genomförts innan läkemedel som utvecklas på detta sätt kan godkännas.

Samtidig diagnostik

Ofta godkänns nya läkemedel tillsammans med ett åtföljande diagnostiskt test för att säkerställa att läkemedlet är lämpligt för patienten som behandlas.Om ett diagnostiskt test inte är korrekt validerat kanske läkemedlet inte fungerar eller ger biverkningar.Därför är det avgörande att det diagnostiska testet är rätt utformat och validerat för att åstadkomma bästa möjliga resultat av läkemedlet och för patienten.

Samtidig diagnostik är nödvändiga test som används för att välja ut patienter innan ett läkemedel ges.De kan:

- visa vem som sannolikt kommer att svara på läkemedlet

(”svarare” och ”icke-svarare”)
- identifiera patienter med hög risk för biverkningar
- hjälpa läkaren att välja en lämplig dos som är både säker och effektiv.

Samtidig diagnostik kan innefatta undersökningar direkt på patienten som elektrokardiografi (EKG) eller diagnostisk bildtagning som MRT.Test som utförs på prover som tagits från en patient (till exempel DNA-test) anses i allmänhet av tillsynsmyndigheter utgöra det tyngst vägande beviset.

Samtidig diagnostik bör ha en ”avsedd användning” eller ”indikationer för användning”.För båda dessa begrepp används ofta den övergripande termen ”avsedd användning” (för en behandling).De ska generellt innefatta följande delar:

- Målpopulationen för vilken testet är avsett (till exempel individer med särskilda genotyper (genetisk sammansättning) eller fenotyper (egenskaper)).
- Varför mätningen utförs – det ”kliniska syftet” (till exempel hjälp med diagnos, bedömning av hur sjukdomen sannolikt kommer att utvecklas (prognos) och övervakning).
- Vad som mäts, identifieras eller detekteras (till exempel en specifik gen eller ett specifikt protein).
- Vilken typ av mätning som utförs med testet, bland annat om testet är kvalitativt (undersöker observationer och beskrivningar) eller halvkvantitativt och kvantitativt (undersöker antal).
- Typen av prov och varifrån det tas (t.ex. helblod, cerebrospinalvätska).
- I vilken miljö den diagnostiska enheten är avsedd att användas (i ett laboratorium eller vid vårdplatsen) och vilken typ av utrustning som krävs för att utföra testet.
- Måltillståndet (en viss sjukdom, ett visst sjukdomsstadium eller hälsotillstånd eller annat tillstånd/annan händelse som går att identifiera).

Utmaningar

Det finns särskilda etiska utmaningar för forskare som arbetar med genetiska och genomiska data.Det är viktigt att de tar hänsyn till integriteten och håller data konfidentiella samt försäkrar sig om att deltagare i prövningar förstår vad de samtycker till (informerat samtycke).

Även om ett läkemedel är målinriktat mot en specifik underpopulation av patienter kan det hända att det ordineras till patienter som har ”samma sjukdom” men tillhör andra undergrupper.Detta kan leda till:

- uteblivet svar på behandlingen
- en fördröjning tills patienten får en behandling som passar bättre för just honom/henne
- slöseri med läkemedlet
- en biverkning som hade kunnat undvikas.

Patienternas upplevelse

Personanpassad medicin kan ge mycket mer information om en enskild persons hälsa, vilket kan få personliga konsekvenser och potentiellt förändra personens sätt att leva.Är patienterna redo för detta?Och är sjukvårdspersonalen tillräckligt duktiga på och redo att förmedla detta till patienterna?

Vid personanpassad medicin bör en patient med en sjukdom få mer lugnande information före behandlingen:

- om att ett läkemedel sannolikt kommer att fungera bra för patienten
- om att patienten troligen inte kommer att uppleva biverkningar med en viss behandling.

När biverkningar är oundvikliga bör bättre kunskap om dem och hur allvarliga de kan bli göra det lättare för patienten att

besluta om och planera för behandlingen och anpassa den till vardagen.

Kommunikation mellan patient och läkare

Vid personanpassad medicin finns det i allmänhet mer eller annorlunda information om tillgängliga behandlingsalternativ som patienten och läkaren behöver sätta sig in i och diskutera.Patienter som har svårigheter med detta behöver ordentligt stöd av sina läkare.

Det kan vara nödvändigt att utföra fler test än vi är vana vid för att göra personanpassad medicin möjlig.Blodprover betraktas vanligtvis som rutinmässiga, men biopsier (där bitar av vävnad tas) kräver bedövning och kan ta längre tid att analysera.Patienter och läkare behöver diskutera för- och nackdelar när de fattar beslut om provtagning och testning.

Om ett test förutsäger hur sannolikt det är att patienten kommer att svara på ett läkemedel kan resultatet exempelvis uttryckas som ”odds” (1 av 3) eller som ett procentvärde (33 procent).Människor har olika sätt att tolka risker och läkarna behöver ge stöd vid tolkningen av risker.

Ytterligare resurser

- Genomics England
- Nuffield Council on Bioethics (2010).Medical profiling and online medicine:the ethics of ’personalised healthcare’ in a consumer age.
- Corpet, A. & Almouzni, G. (dec 2006–jan 2007).*Sciences et Avenir*, 149

Bilagor

A2-1.08.4-V1.4