

# Vurdering af værdien af kliniske forsøgsresultater

## Introduktion

Ikke alle kliniske forsøg er ligeværdige. Når man skal tage stilling til, hvor meget vægt man skal lægge på kliniske forsøgsresultater, er det en god idé at stille et par vigtige spørgsmål:

## Hvor godt var forsøget designet?

Der er ikke et entydigt korrekt design til et klinisk forsøg – det afhænger mere af, om det anvendte design passede til omstændighederne. Selvom store forsøg generelt er mere pålidelige end små forsøg, skal dette fastslås ved at bruge sin sunde fornuft. Et forsøg med en sjælden, nedarvet enzymmangel vil aldrig kunne samle 5.000 patienter, hvilket ofte ses i forsøg med lægemidler mod hjerteanfald. På samme måde er en opfølgingsperiode på et par uger meget passende til et lungebetændelsesforsøg, men den vil være utilstrækkelig til et forsøg med præventionspiller. Placebokontrolgrupper, som kan være meget nyttige i forhold til at fortolke resultaterne, er klart uetiske i visse situationer (f.eks. livstruende sygdomme, som der findes effektive behandlinger til). Selvom komparative forsøg er den bedste metode til at vurdere virkning, kan større og længerevarende ikke-blindede forsøg give mere indsigt i lægemidlers reelle sikkerhed.

Tilgangen til hvert eneste forsøgsdesign skal foregå via spørgsmålet: “Var dette den bedste måde at gøre tingene på under de givne omstændigheder?”

## **Svarer den undersøgte patientpopulation til den, jeg er interesseret i?**

Oplysninger fra et forsøg på voksne i alderen 18 til 65 har muligvis kun begrænset relevans for meget gamle patienter og vil næsten med sikkerhed være utilstrækkelig i forhold til at vejlede behandlingen af spædbørn. Ligeledes kan mennesker med svære eller meget fremskredne sygdomme reagere meget anderledes end dem, der har mildere sygdomme eller sygdomme på tidligere stadier.

## **Hvor relevante er slutpunkterne?**

Visse sygdomme og symptomer er nemmere at undersøge i et klinisk forsøg end andre. Hvis et nyt lægemiddel mod kræft øger medianens overlevelse med et år, er der ingen tvivl om, at det er en relevant måling. Det er meget sværere at vurdere et nyt smertestillende lægemiddel, der bruges til at behandle de samme patienter, fordi der ikke er nogen uomtvistelige "standardenheder for smerte". Det vigtigste er igen, at man stiller spørgsmålstejn ved, om den valgte tilgang passer til omstændighederne.

## **Var effekterne af lægemidlet klinisk værdifulde?**

Generelt er det sådan, at jo større effekten af lægemidlet er, desto bedre. Alle lægemidler har omkostninger, både hvad angår penge og bivirkninger. Målet er at finde den størst mulige fordel til de lavest mulige af disse omkostninger. Det er dog værd at huske på, at et beskedent samlet resultat kan dække over en markant forbedring hos nogle patienter og ingen ændring hos andre. Hvis yderligere forskning kan hjælpe med at identificere den undergruppe, der er tilbøjelige til at klare

sig bedst, kan det nye lægemiddel have stor værdi for denne målpopulation.

## **Hvordan passer de kliniske forsøgsresultater ind i den allerede eksisterende viden?**

Det er meget usædvanligt, at et klinisk forsøg står helt alene som den eneste tilgængelige informationskilde på et bestemt felt inden for lægemidler. Når dette sker, repræsenterer det normalt den første brug af en helt ny tilgang til behandlingen, og det eneste, man kan gøre, er at registrere resultaterne omhyggeligt og derefter vente og se, om efterfølgende forsøg understøtter dem. Det er meget mere almindeligt, at der vil have været udført tidligere forsøg med samme lægemiddel eller af samme klasse inden for samme sygdom eller relaterede sygdomme. De nye kliniske forsøgsresultater kan herefter vurderes i sammenhæng med den allerede eksisterende viden. Resultater, der passer godt sammen med det, man allerede ved, er generelt lettere at acceptere i forhold til resultater, som er direkte modstridende med tidligere resultater. Det er dog vigtigt at gå ind med et åbent sind.

A2-4.34.3-v1.2