

Novartis Norge AS



Utprøvende behandling – noe for deg?

Informasjon om deltakelse i kliniske studier



Innledning

Å velge om du skal delta i utprøvende behandling eller ikke, er et viktig og personlig valg. Informasjonen i denne brosjyren kan forhåpentligvis være til hjelp. Den er skrevet til deg som er pasient, pårørende eller venn og er interessert i å finne ut mer om utprøvende behandling i Norge.



Innhold

Kapittel 1	Hvorfor skal jeg delta i utprøvende behandling?	Side 4
Kapittel 2	Hva er målet med å gjennomføre utprøvende behandling?	Side 5
Kapittel 3	Hvor kan jeg finne informasjon om utprøvende behandling i Norge?	Side 6
Kapittel 4	Kan jeg delta i utprøvende behandling?	Side 6
Kapittel 5	Kan jeg bli med i en studie når som helst?	Side 7
Kapittel 6	Hvilke rettigheter og hvilket ansvar har jeg som studiedeltaker?	Side 7
Kapittel 7	Hvem vil jeg møte som studiedeltaker?	Side 8
Kapittel 8	Hvordan sikres personvernet mitt?	Side 9
Kapittel 9	Informert samtykke	Side 10
Kapittel 10	Hva skjer hvis den utprøvende behandlingen endrer helsetilstanden min?	Side 11
Kapittel 11	Hva slags behandling får jeg når studien er over?	Side 11
Kapittel 12	Hvordan dekkes utgifter knyttet til den utprøvende behandlingen?	Side 12
Kapittel 13	Hvilke myndigheter vurderer om studien kan utføres?	Side 12
Kapittel 14	Hva er studiedesign?	Side 13
Kapittel 15	Hva skjer etter at studien er ferdig	Side 14
Kapittel 16	Ordliste	Side 15
Kapittel 17	Kilder	Side 18

1 | Hvorfor skal jeg delta i kliniske studier?

Kliniske studier, eller utprøvende behandling er forskning på effekten av nye behandlingsmetoder, og på om bivirkningene er akseptable.¹

Å delta i **utprøvende behandling** betyr at du tar en aktiv rolle i egen sykdom. I noen tilfeller kan du få tilgang til ny behandling før den blir gjort tilgjengelig for andre. Det er viktig å være klar over at behandlingen du får kan være ny og at effekten derfor er uviss. Det kan derfor tenkes at ikke alle vil ha nytte av den, men din deltagelse kan også bidra til å hjelpe andre som har den samme sykdommen både i Norge og i andre land.

Det vil alltid være en viss risiko ved å delta i utprøvende behandling, og du må derfor vurdere både mulig nytte og risiko ved å delta. Behandlingen kan gi bivirkninger som både er kjente og ukjente. Etter hvert som studien går fremover, kan det også dukke opp ny kunnskap som har betydning for vurderingen av din nytte og risiko ved å delta. Som deltaker vil du få grundig informasjon før, under og etter studieperioden. Du kan til enhver tid velge å trekke deg fra studien uten å måtte begrunne dette nærmere.

Et **Informert samtykkeskjema** (se kapittel 9) er utviklet for at du som blir spurt om å delta i kliniske studier skal forstå hva studien handler om. Informert samtykke fra deg som deltaker er en forutsetning for at studien kan gjennomføres.



Bør jeg delta i en klinisk studie?

2 | Hva er målet med å gjennomføre utprøvende behandling?

Kliniske studier tar vanligvis sikte på å besvare viktige forskningsspørsmål som:

- Hvilken dose av legemiddelet gir best effekt?
- Hvordan påvirker behandlingen sykdommen (forbedres eller forverres den)?
- Hvor godt tåler kroppen min den utprøvende behandlingen?
- Hvilke bivirkninger er knyttet til behandlingen?
- Hva er effekten over tid?

I løpet av studien innhentes det stadig mer informasjon om behandlingen, risiko knyttet til behandlingen og om hvor effektiv eller ineffektiv den er.

Legemiddelets sikkerhet vurderes ved hjelp av laboratorieprøver, bildediagnostikk og ulike funksjonstester.

Legemiddelets effekt vurderes på grunnlag av målesystemer som er utarbeidet for den aktuelle sykdommen.



3 | Hvor kan jeg finne informasjon om utprøvende behandling i Norge?

<https://helsenorge.no/kliniske-studier/> er den offentlige helseportalen for norske innbyggere.² Der kan du også finne informasjon om noen kliniske studier som utføres i Norge, og om hvilke vilkår og rettigheter som er knyttet til deltakelse. Direktoratet for e-helse har ansvar for drift og utvikling av nettsiden.

<https://helsenorge.no/kliniske-studier/>

<https://clinicaltrials.gov> er en annen nyttig nettside.³ Den eies av US National Library of Medicine i USA og er et internasjonalt register over offentlig og privat finansierte studier som gjennomføres over hele verden.

<https://clinicaltrials.gov/>

Informasjonen på begge nettsidene oppdateres regelmessig, men ikke nødvendigvis samtidig. Sjekk begge nettsidene regelmessig hvis du er interessert i kliniske studier som gjennomføres på spesielle sykdommer eller sykdomsområder. Det kan også være nyttig å involvere legen din, som kan hjelpe deg med eventuelle spørsmål du måtte ha. Hvis det er nødvendig, kan legen din snakke med dem som er ansvarlig for studien direkte for å få mer informasjon.

4 | Kan jeg delta i utprøvende behandling?

Kriteriene for å kunne delta varierer fra studie til studie. **Inklusjonskriterier** er kriterier som skal være oppfylt for at du skal kunne delta. **Eksklusjonskriterier** er kriterier som utelukker deltakelse. Kriteriene kan dreie seg om alder, kjønn, type sykdom, sykdomsgrad, tidligere behandling, andre medisinske lidelser og resultater av ulike prøver og undersøkelser.

Inklusjonskriterier og **eksklusjonskriterier** brukes ikke for å forskjellsbehandle, men for å finne frem til de som passer best for nettopp denne kliniske studien. Deltakere blir nøye valgt ut for å sikre at de riktige sykdomsparameterne måles og om legemiddelet under utprøving har en effekt på sykdommen som undersøkes. Studielegen kommer til å drøfte disse kriteriene med deg for å vurdere om du er aktuell som deltaker.

5 | Kan jeg bli med i en klinisk studie når som helst?

Om du kan delta avgjøres ikke utelukkende av **inklusionskriterier** og **eksklusionskriterier**, men også av en **rekrutteringsperiode**.

Rekrutteringsperioden er en gitt tidsperiode hvor det søkes pasienter til studien. Varigheten av **rekrutteringsperioden** kan være avhengig av bl.a. antallet pasienter som er nødvendig å ha med i studien for å dokumentere om det har effekt og hvor langt man har kommet i utviklingen av legemiddelet. Etter at **rekrutteringsperioden** er over, er det ikke lenger mulig å få delta.

6 | Hvilke rettigheter og ansvar har jeg som studiedeltaker?

Du velger selv om du vil delta. Du har rett til å få saklig informasjon før, under og etter studien, og du har rett til å stille den ansvarlige legen spørsmål når som helst. Kontaktinformasjon til legen vil være oppført i papirene du vil få utdelt.

Hvis du velger å delta i studien, kommer du til å bli bedt om å bekrefte dette ved å signere skjemaet for **informert samtykke** (kapittel 9). Etter at du har gitt ditt samtykke, forventes det at du følger retningslinjene i det informerte samtykket av hensyn til din egen helse. Du har alltid mulighet til å ombestemme deg. Du trenger ikke å oppgi noen forklaring på hvorfor du ikke vil delta eller hvorfor du trekker samtykket tilbake. Hvis du ikke ønsker å delta, vil legen din informere deg om den beste tilgjengelige behandlingen og følge deg opp på vanlig måte.

Som deltaker i en studie forventes det at du følger studiens prosedyrer, møter opp til avtalt tid og følger behandlingen. Husk å informere legen om:

- din helsetilstand
- legemidler du har brukt (med eller uten resept)
- hvilke andre legemidler du eventuelt bruker nå
- eventuelle nylig oppståtte symptomer

7 | Hvem vil jeg møte som studiedeltaker?

Legen som er ansvarlig for studien og **studieteamet** kalles **hovedutprøver**.

Studieteamet kan bestå av andre leger, sykepleiere, koordinatore, teknikere og helse- og sosialarbeidere.

Hovedutprøveren kan delegere oppgaver til andre i **studieteamet**, men er fortsatt ansvarlig for at studien gjennomføres på riktig måte.

Studieteamet vurderer din helsetilstand før studien starter, gir deg detaljerte instruksjoner om hva du skal gjøre, følger deg opp og gir deg informasjon etterhvert som studien går fremover. Antall konsultasjoner og undersøkelser vil variere, men vanligvis vil det dreie seg om flere konsultasjoner enn det du vanligvis ville hatt uten å være med i studien.⁴ I noen tilfeller vil **studieteamet** holde kontakt med deg også etter at studien er over. Du vil samarbeide nært med **studieteamet** for å sikre at studien gjennomføres som planlagt.

Fastlegen/legen din spiller også en viktig rolle selv om vedkommende ikke er en direkte del av **studieteamet**. Det anbefales derfor at du drøfter en eventuell studiedeltakelse med legen din og holder legen oppdatert om studiens framdrift.

Hvis du har time hos fastlegen/andre leger i studieperioden, må du opplyse om at du er deltaker i en studie. Om legen forskriver ny behandling må denne være i samsvar med **studieprotokollen**. Hvis legen oppdager nye symptomer må **studieteamet** få vite om dette. Du vil få tildelt informasjon som du kan gi til legen din.



8 | Hvordan sikres personvernet mitt?

Mange kliniske studier er igangsatt og betalt av et legemiddelfirma. Legemiddelfirmaet er definert som studiens **sponsor** og vil stå for mye av det praktiske rundt studien, selv om helsepersonell ved ditt sykehus eller legekantor er de som utfører selve studien.

Sponsoren har også ansvaret for å overholde nasjonale og internasjonale direktiver om personvern. Alt personell som er involvert i studien har taushetsplikt og må følge strenge regler for konfidensialitet.⁵

Alle dine personlige opplysninger, medisinsk informasjon og prøveresultater som er innhentet i forbindelse med studien, er **avidentifisert**, dvs. at navn og personnummer er slettet og erstattet med et nytt nummer. Det er kun **hovedutprøver**, dvs. legen som utfører studien, som har mulighet til å spore hvilke personer som er knyttet til hvilken kode gjennom en såkalt **identifikasjonsnøkkel**. Studiens **sponsor** har ikke adgang til identifikasjonsnøkkelen. Det er **sponsorens** ansvar å følge norske personvernregler for personlige opplysninger og prøver som måtte sendes til utlandet. I noen tilfeller må **hovedutprøver** gi godkjenningsmyndigheter, dvs. Statens legemiddelverk, **etikkomitéer** og/eller sponsor tilgang til personlige opplysninger og medisinsk informasjon. Dette gjøres bare i forbindelse med en gjennomgang av hele studien.



9 | Informert samtykke

Skjema for **informert samtykke** inneholder informasjon om studien og er laget for deg som kan tenke deg å delta i en studie. Skjemaet skal ha et forståelig språk og ikke inneholde vanskelige tekniske ord. Du skal få hjelp til å forstå det du er usikker på. Ta deg tid til å ta opp spørsmål du måtte ha med studielegen eller andre du har tillit til.

Regionale komitéer for medisinsk og helsefaglig forskningsetikk (REK)

har en mal for pasientinformasjon og samtykke som skal følges.⁶ Alt materiale forbundet med studien gjennomgås i skjemaet for **informert samtykke**⁶ og godkjennes av den regionale etiske komitéen før studien igangsettes.

Malen for pasientinformasjon dekker følgende punkter:

- Formålet med studien
- Hvem er ansvarlig?
- Hva innebærer prosjektet?
- Mulige fordeler, ulemper og alvorlige bivirkninger
- Frivillig deltakelse og mulighet for å trekke sitt samtykke
- Hva skjer med prøver og opplysningene om deg?
- Hva slags informasjon kan eventuelle genetiske undersøkelser i prosjektet gi?
- Finansiering
- Forsikring
- Informasjon om utfallet av studien
- Godkjenning
- Kontaktinformasjon
- Samtykke

Hvis du takker ja til å delta i en studie med utprøvende behandling, må du signere skjemaet for **informert samtykke**. Barn og ungdom under 18 år og voksne som ikke er i stand til å ta selvstendige valg anses som sårbare grupper. Det stilles derfor andre krav til informert samtykke. Studielegen vil kunne svare på dine spørsmål om dette.

10 | Hva skjer hvis den utprøvende behandlingen endrer helsetilstanden min?

I løpet av studieperioden og en eventuell lengre oppfølgingsperiode, må alle endringer ved din sykdom og helsetilstand rapporteres til **studieteamet**, slik som angitt i de forpliktelsene du gikk med på (se kapittel 6). Hvis den utprøvende behandling gis som ledd i en såkalt blindet, randomisert studie (se kapittel 14) med bruk av **placebo** (produkt uten medisinsk effekt) eller kontrollmedisin, kommer du til å bli informert om hvilket legemiddel du fikk først etter at studien er fullført. Unntaket er ved bivirkninger og andre helserelaterte hendelser som krever at blindingen blir opphevet (se kapittel 14).

Hvis helsetilstanden din endrer seg, kan det hende at studielegen tilpasser behandlingen avhengig av **studieprotokollen**.

11 | Hva slags behandling får jeg når studien er over?

Hovedprinsippet er at du ikke skal behandles med den utprøvende behandlingen utover studieperioden. Studielegen vil forklare hvilke behandlingsalternativer som er tilgjengelige og veilede deg i valg av best mulig behandling.

I noen studier legges det opp til en forlengelsesfase. Du vil da fortsatt kunne få studielegemiddelet, men ikke nødvendigvis frem til det blir markedsført. Dette beskrives som regel i pasientinformasjonen du får før studien starter. Studielegen kan gi mer informasjon om dette.



12 | Hvordan dekkes utgifter knyttet til den utprøvende behandlingen?

Du vil ikke få betalt for å delta i klinisk forskning, og det kan ikke kreves noen form for avgift eller godtgjørelse. Det skal ikke koste deg noe å motta den utprøvende behandlingen, men du kan måtte dekke noen kostnader knyttet til reisevei, samt tapt arbeidstid.

13 | Hvilke myndigheter vurderer om studien kan utføres?

Utprøvende behandling i Norge er underlagt internasjonale og norske retningslinjer og bestemmelser. Disse bestemmelsene sikrer at alle studiedeltakeres rettigheter, helse og velferd sikres, og at studiedataene som innhentes er pålitelige og brukes på riktig måte. Alle involverte parter er forpliktet til å følge disse bestemmelsene nøye.

Etikkomitéer i hver helseregion består av leger, andre forskere, fagpersoner og legfolk som har ansvar for å sikre at alle pasienter som deltar i utprøvende behandling har sine rettigheter, helse og velferd sikret. Disse kalles regionale komitéer for helsefaglig og medisinsk forskningsetikk, **REK**.⁷ Disse reguleres via EU-forordningen 536/2014.⁸

Statens Legemiddelverk⁹ er det norske myndighetsorganet som er ansvarlig for godkjenning og kontroll av legemidler og vurdering av kvalitet, sikkerhet og effekt av legemidler og medisinsk utstyr. Statens Legemiddelverk registrerer, vurderer og overvåker alle utprøvende behandlinger i Norge.

Klinisk forskning i Norge forutsetter godkjenning fra **REK** og **Statens Legemiddelverk**.

14 | Hva er studiedesign?

Måten utprøvende behandlinger er lagt opp på, omtales gjerne som **studiedesign**.

Studiedesign bestemmes av hvilke forskningsspørsmål som skal besvares.

For å vurdere effekten av et legemiddel kan det være nødvendig å sammenligne den med en «narremedisin», også kalt **placebo**, eller et annet legemiddel, gjerne omtalt som en **aktiv komparator**. For at sammenligningen skal kunne utføres uten påvirkning fra andre faktorer, blir pasienten tilfeldig plassert - randomisert - i en **behandlingsarm**.

Randomisering er prosessen der pasienter som deltar i studien, blir plassert i en gruppe som enten får den utprøvende behandlingen, **placebo** eller **aktiv komparator**.

Blindet behandling betyr at studiepersonell og/eller pasientene ikke vet hvilken behandling som blir gitt.

Enkeltblindet betyr at bare pasienten ikke vet hvilken behandling vedkommende får.

Dobbeltblindet betyr at verken pasientene eller studiepersonellet vet hvilken behandling som gis. Dette gjøres for å utelukke at forutinntatte holdninger til behandlingen skal kunne påvirke tolkningen av resultatene.

Ublindet, åpen behandling betyr at både studiepersonellet og pasientene vet hvilken behandling som har blitt gitt. Dette utføres ofte i en forlengelsesfase av en blindet studie eller der det er hensiktsmessig at alle får vite hvilken behandling som gis.



15 | Hva skjer etter at studien er ferdig?

Når studien er avsluttet, vil all informasjon og alle resultater analyseres før det gjøres en endelig vurdering av den utprøvende behandlingens effekt og sikkerhet. Resultatene av studien vil så senere bli publisert i vitenskapelige tidsskrifter og gjort offentlig tilgjengelig. Tidsfristene for dette og hva som skal publiseres reguleres gjennom EU-forordningen 536/2014.⁸

Resultatene av studien må sendes inn til myndighetene som godkjente studien, dvs. etikkomitéen og Statens legemiddelverk, og registreres på offentlige nettsider som <https://clinicaltrials.gov>.³

Søknad om markedsføringstillatelse kan sendes inn til Statens legemiddelverk når sikkerhet og effekt har blitt dokumentert gjennom studier. Etter at alle data er analysert kan du be studielegen om å få høre om funnene fra studien.



16 | Ordliste

Aktiv komparator – et legemiddel som allerede finnes på markedet. Brukes som en referanse for studielegemiddelet for å vurdere den relative effekten av den utprøvende behandlingen.

Avidentifisert – alle personlige opplysninger, medisinsk informasjon og prøveresultater som er innhentet i forbindelse med studien, dvs. at navn og personnummer er slettet og erstattet med et nytt nummer.

Behandlingsarm – studiebehandlingen som definerer gruppen deltakere som får denne bestemte behandlingen/dosen.

Blindet behandling - studiepersonell og/eller pasientene vet ikke hvilken behandling som blir gitt.

Blindet randomisert studie - pasienter blir plassert i en gruppe som enten får den utprøvende behandlingen, placebo eller aktiv komparator uten at pasientene selv vet hvilken gruppe de tilhører.

Dobbeltblindet studie - hverken pasientene eller studiepersonellet vet hvilken behandling (studielegemiddelet, placebo eller aktiv komparator) som gis.

Eksklusjonskriterier - faktorer som avgjør om du ikke passer til studien. Viktig for å kunne identifisere deltakere som potensielt har en høyere risiko å få bivirkninger ved å delta i studien og andre faktorer som kan påvirke nøyaktigheten av studieresultatet.

Enkeltblindet - studie hvor bare pasienten ikke vet hvilken behandling (studielegemiddelet, placebo eller aktiv komparator) vedkommende får.

Etikkomitéer - uavhengig komité som består av forskjellige eksperter som leger, biologer, legfolk og jurister. Komitéen gjennomgår de vitenskapelige, etiske og juridiske aspektene av studien for å sikre at studiedeltakernes sikkerhet blir ivaretatt.

Hovedutprøver/Studielegen - legen som er ansvarlig for studien.

Identifikasjonsnøkkel - det er kun hovedutprøver, dvs. legen som er ansvarlig for studien, som har mulighet til å spore hvilke personer som er knyttet til hvilken kode gjennom en såkalt identifikasjonsnøkkel.

Informert samtykke - gis av pasienten på at man har fått tilstrekkelig informasjon om studien og at man ønsker å delta. Samtykket dokumenteres ved at pasienten signerer skjema for informert samtykke. Skjemaet er utviklet av sponsor av studien.

Inklusjonskriterier - faktorer som skal være oppfylt for å kunne delta i studien. Viktig for å kunne identifisere deltakere som potensielt kan ha nytte av å delta i studien.

Klinisk studie/utprøvende behandling - studier som utføres på mennesker for å undersøke virkning av legemidler eller andre behandlingsmetoder, men også for å undersøke hvordan medikamenter omdannes i kroppen og om bivirkningene er akseptable.

Placebo - produkt uten medisinsk effekt som i studien brukes til å sammenligne med studielegemiddelet for å vurdere den relative effekten av studielegemiddelet.

Protokollen/studieprotokoll - plan som detaljert beskriver hvordan studien skal gjennomføres.

Randomisering - prosessen der pasienter som deltar i studien, blir tilfeldig plassert i en gruppe som får enten den utprøvende behandlingen, placebo eller aktiv komparator.

REK - regionale komitéer for medisinsk og helsefaglig forskningsetikk.

Rekrutteringsperioden - tidsperioden hvor det søkes pasienter til studien.

Sponsor - personen eller organisasjonen som tar ansvaret for å organisere en klinisk studie.

Statens Legemiddelverk - er det norske myndighetsorganet som er ansvarlig for godkjenning og kontroll av legemidler og vurdering av kvalitet, sikkerhet og effekt av legemidler og medisinsk utstyr.

Studiedesign - måten studien er lagt opp. Studiedesignet avgjøres basert på hvilke forskningsspørsmål studien ønsker å besvare.

Studieteamet - grupper av personer som er involvert i utførelsen av studien under ledelse av hovedutprøver. Studieteamet består av hovedutprøver, andre leger, sykepleiere, koordinatore, teknikere, annet helsepersonell og sosialarbeidere.

Ublindet/åpen - både studiepersonellet og pasientene vet hvilken behandling som har blitt gitt.

17 | Kilder

1. Kliniske studier – hva er det? – helsenorge.no
Helsenorge.no (lest 22.11.2018)
Hentet fra <https://helsenorge.no/kliniske-studier/hva-er-kliniske-studier>
2. Kliniske studier – helsenorge.no
Helsenorge.no (lest 22.11.2018)
Hentet fra <https://helsenorge.no/kliniske-studier>
3. Home – ClinicalTrials.gov
ClinicalTrials.gov (lest 22.11.2018)
Hentet fra [https:// ClinicalTrials.gov/](https://ClinicalTrials.gov/)
4. Verdien av kliniske studier i Norge – Menon Economics
Menon Economics (lest 22.11.2018)
Hentet fra <https://menon.no/publication/verdien-av-kliniske-studier-norge/>
5. Taushetsplikt og samtykke
Helsedirektoratet.no (lest 22.11.2018)
Hentet fra <https://helsedirektoratet.no/retningslinjer/rehabilitering-habilitering-individuell-plan-og-koordinator/seksjon?Tittel=taushetsplikt-og-samtykke-6934>
6. REK – Regionale komitéer for medisinsk og helsefaglig forskningsetikk
Informasjon og samtykke (lest 09.2018)
Hentet fra <https://helseforskning.etikkom.no/>https://helseforskning.etikkom.no/frister/malforinformasjonsskriv?p_dim=34672&_ikbLanguageCode=n
7. REK – Regionale komitéer for medisinsk og helsefaglig forskningsetikk
Helseforsikring.etikkom.no (lest 22.11.2018)
Hentet fra [https:// Helseforsikring.etikkom.no/](https://Helseforsikring.etikkom.no/)
8. Public Health – European Commission
Public Health (lest 22.11.2018)
Hentet fra https://ec.europa.eu/Health/sites/health/files/files/files/eudralex/vol-1/reg_2014_536/reg_2014_536_en.pdf
9. Forside
Statens Legemiddelverk (lest 22.11.2018)
Hentet fra <https://legemiddelverket.no/>

Informasjonsheftet er utarbeidet av Novartis
i samarbeid med pasientforeninger og LMI



NORSK REVMATIKERFORBUND

