

Sammanfattning

Bakgrund

Uppföljning av behandling i klinisk vardag handlar om att ta tillvara den information om användning, behandlingseffekt, säkerhet och kostnadseffektivitet som finns i hälsodata- och kvalitetsregister och i hälso- och sjukvårdens övriga dokumentation. Sådan uppföljning är särskilt viktig i samband med att nya behandlingsmetoder introducerats i vården. De data som finns tillgängliga när en behandlingsmetod introduceras baseras i bästa fall på randomiserade kontrollerade studier (RCT), som i flera avseenden skiljer sig från behandling i klinisk vardag. Patienterna i klinisk vardag har ofta mer samsjuklighet, annan ålder och sämre prognos i allmänhet än patienterna i RCT. Projektets frågeställning kan betraktas som ett överförbarhetsproblem där vi har en uppmätt behandlingseffekt från ett urval ur en population och där vi är intresserade av att testa hur väl denna effekt speglar behandlingseffekten i den bakomliggande populationen.

Syfte

Projektets syfte är att kartlägga vilka statistiska strategier som finns publicerade idag för att analysera överförbarheten av RCT-data till behandlingseffektivitet i klinisk vardag. Målet med dessa strategier är att förbättra bedömningen av behandlingseffektivitet i klinisk vardag.

Litteraturgenomgång

Inledningsvis genomfördes litteratursökningar med breda ansatser för att försöka ringa in ämnesområdet. Under processen med att identifiera potentiellt relevanta studier har kompletterande metoder såsom kontroll av referenslistor och forskningskontakter varit av stor betydelse.

Resultat

Litteratursökningen resulterade i nio relevanta artiklar. De strategier som identifierats i artiklarna handlar om att justera resultatet från RCT utifrån

kända egenskaper hos patientgrupperna. Strategierna är främst inriktade på följande situationer:

1. Innan läkemedlet har börjat användas:

Läkemedlet är godkänt och genomgår hälsoekonomisk värdering inför förmånsbeslut. Baserat på registerdata om den tänkta svenska patientpopulationens egenskaper kan man med dessa strategier bättre uppskatta den förväntade effekten utifrån resultat i RCT:er.

2. Efter det att läkemedlet har använts en tid:

Det är då möjligt att undersöka om utfallet i klinisk vardag avviker från det förväntade utfallet som uppskattats utifrån resultat i RCT:er.

Strategierna bygger på etablerade statistiska metoder, däribland olika regressionsmodeller, matchningsmetoder och viktning utifrån förekomst av egenskaper hos patienterna.

Det finns dock en rad antaganden, problem och begränsningar som ökar osäkerheten i uppskattning av den förväntade effekten av en behandling i klinisk vardag:

- Ett antagande är att man känner till alla faktorer av betydelse för selektionen till RCT och utfallen. Om detta antagande inte stämmer finns en risk för antingen över- eller underskattning av effektiviteten i klinisk vardag.
- Ett problem är tillgången till den nödvändiga informationen om de betydelsefulla faktorerna, både för kliniska prövningspatienterna och för patienterna i klinisk vardag.
- De strategier som tas upp i rapporten kan inte, utan osäkra antaganden och extrapolering av data, användas för att generalisera resultat utanför den typ av patienter som undersöks i den RCT som

använts. Detta innebär i princip att generaliserbarheten begränsas av de inklusion- och exklusionskriterier som används i RCT:n.

Denna rapport visar att det finns strategier eller tillvägagångssätt som skulle kunna användas för att möjliggöra en bättre uppskattning av vilken nytta en behandlingsmetod ger i klinisk vardag. Det återstår dock att testa om denna typ av analys är genomförbar i praktiken och vilka praktiska eller legala problem som behöver lösas.

Etiska aspekter

Etiska problem har identifierats inom två områden:

- Omvärdering av ett läkemedels effektivitet i klinisk vardag och därmed dess kostnadseffektivitet kan föranleda att pågående behandlingar kan behöva avslutas. Detta kan innebära en förlust för patienter och anhöriga samt en påfrestande situation för behandlaren.
- Ytterligare krav på dokumenterad effekt av läkemedelsbehandling kan ses som en orättvisa gentemot berörda företag om inte motsvarande krav ställs på andra insatser i vården.

Denna rapport hör till serien SBU Bereder. Beredning av frågor för annan myndighets verksamhet eller beslut, exempelvis till nationella riktlinjer. Vetenskapligt kunskapsunderlag tas fram av medarbetare på SBU i samarbete med ämnessakkunniga. Arbetsprocessen för att ta fram underlaget varierar beroende på frågeställning och behov.

Detta är ett regeringsuppdrag från Socialdepartementet. Aktivitet 1.2 i den Nationella läkemedelsstrategin 2016–2018.

Rapport nr 256 (2016) • registrator@sbu.se.
Rapporten kan laddas ner från www.sbu.se/256
eller beställas via 08-779 96 85 eller sbu@strd.se.
Grafisk produktion: Anna Edling, SBU.

Projektgrupp

Sakkunniga

Xavier de Luna (professor, Umeå)
Stefan Franzén (fil dr, Västra Götaland)
Katarina Steen Carlsson (fil dr, Lund)

SBU

Naama Kenan Modén (projektledare)
Sten Anttila (biträdande projektledare)
Agneta Brolund (informationsspecialist)
Jan Liliemark (avdelningschef)
Anna Ringborg (hälsoekonom)
Anna Attergren Granath (projektadministratör)

Externa granskare

Mats Eliasson (professor, överläkare, Umeå)
Lars-åke Levin (professor, Linköping)
Juni Palmgren (professor, Stockholm)