

Godkendelse af personlig medicin

LEDER

Thorikild I.A. Sørensen

Ugeskr Læger
2018;180:V69798

I USA debatteres de store udfordringer, som Food and Drug Administration (FDA) har som følge af udviklingen mod »personlig medicin« (præcisionsmedicin og stratificeret medicin) baseret på bl.a. den genetiske profil og patienternes involvering [1]. Det er relevant for os, fordi FDA's vurderinger og afgørelser har stor indflydelse, og fordi det afspejler nogle uafviselige dilemmaer. Fastholdelse af kravet om solid evidens for en samlet set gavnlig virkning af medicin vanskeliggøres i stigende grad af kravet om personliggørelsen.

Interessen for »personlig medicin« beror på, at der ofte er stor spredning i behandlingens virkning, der strækker sig fra skadelig over ingen til helbredende virkning. Hyppigt og trivielt hævdes det, at *one size does not fit all*, selvom det princip jo altid har drevet lægegeringen. At behandlingerne accepteres trods spredningen skyldes, at studier har vist, at gruppen af patienter, der opfylder indikationen, efter afvejning af virkningerne gennemsnitligt set har gavn af behandlingen, og at det ikke har været muligt at differentiere indikationen yderligere.

Det ville kræve, at patienterne i undersøgelserne skulle splittes op efter en række karakteristika, så virkningen kunne vurderes i sådanne undergrupper. Selv i større undersøgelser vil en sådan opsplitning ofte hurtigt medføre så stor forøgelse af den statistiske usikkerhed, at resultaterne bliver tilfældige og ubrugelige. Undtagelserne er, at den enkelte undergruppe slår så kraftigt positivt eller negativt ud, at det overdøver den statistiske usikkerhed. Undtagelserne findes selvfølgelig – også historisk set. De er eller vil blive integreret i lægegeringen, og de bliver flittigt brugt til promovring af »personlig medicin«.

Håbet om gevinst ved opdelingerne har fået fremdrift af den teknologiske udvikling, der byder på praktiske muligheder for at karakterisere den enkeltes profil med hensyn til kombinationer af individuelt varierende gener, proteiner, metabolitter m.m. samt registerdata. Hver enkelt patient har en unik profil, også i forhold til sig selv både før og efter en given profilering. Hvordan den forfinede diagnostiske klassifikation og prognostiske prædiktio n så kan anvendes, kan profilerne jo ikke give svar på.

Dertil kræves evidens for, at det alt i alt gavner den enkelte patient med den givne profil at gøre noget andet, diagnostisk eller terapeutisk, end man ellers ville have gjort. Det overses alt for ofte i promovringen af »personlig medicin«, at skabelse af denne evidens er ulige sværere og kræver meget større indsats end profileringen i sig selv. Ofte fremføres det, at man med de nye teknologier kan spare behandling af de patienter,

hvis profil angiveligt forudsiger, at behandlingen ingen virkning har eller er skadelig. Med retrospektive analyser af »big data« fra registre og »omics«-analyser af prøver fra biobanker ser man nu på, hvordan det er gået dem, der har fået behandlingen. Det giver naturligvis ikke det ønskede svar, da man jo ikke kan vide, om patienterne med en given profil ville have fået det bedre eller dårligere med en anden eller ingen behandling.

I praksis er det oplagt at inddrage patienternes præferencer i valg af behandling. I de kontrollerede undersøgelser anvender man livskvalitetsmålinger til at opfang e patienternes egen vurdering, som kan lægges til de kliniske data i afvejningen. I debatten i USA fremføres det imidlertid, at patientpræferencer bør overvejes før myndighedernes godkendelse af medicin. Dette vil gøre evidensskabelse i »personlig medicin« stort set umulig, hvis præferencerne står i modsætning til de behandlingseffekter, inklusive mål for livskvalitet, som ellers lægges til grund.

Drømmen om den personlige behandling lever, og de nye teknologier har givet den nyt liv, men nøgternheden i vurderingen af nytten for den enkelte patient samlet set i både den kliniske forskning, myndighedsgodkendelse og praktisk klinisk arbejde bør fastholdes. Den hastigt voksende begejstring for »personlig medicin« i både den statslige og den regionale sundhedssektor i Danmark frister til, at man glemmer, at det skal påvises, at det gavner både patienter og samfund at løbe i det spor. Sammen med andre, der kan, er vi forpligtet til at bidrage – også på den front.

LITTERATUR

1. Keiding N. Diskussion om Food and Drug Administrations rolle, når tiderne skifter. Ugeskr Læger 2018;180:V11170868.

KORRESPONDANCE:

Thorikild I.A. Sørensen, Metabolismecenteret og Institut for Folkesundhedsvidenskab, Københavns Universitet. E-mail: tias@sund.ku.dk

INTERESSEKONFLIKTER: ingen. Forfatterens ICMJE-formular er tilgængelig sammen med lederen på Ugeskriftet.dk