

Nordiskt samarbete för smartare kliniska studier

Pragmatiska randomiserade kliniska studier används för att jämföra olika behandlingsalternativ och är ett viktigt komplement till traditionella kliniska prövningar. Ett ökat nordiskt samarbete kan vara nyckeln till ökad vetenskaplig evidens i sjukvården. Möjligheter och kvarstående utmaningar diskuterades under två dagar i Uppsala. Här är en sammanfattning av **Vendela Roos**, projektsamordnare vid Uppsala Clinical Research Center.

Sjukvårdens kunskapsbas har ökat kraftigt under de senaste årtiondena, men behoven av vetenskaplig evidens är fortfarande enorma inom många sjukdomsområden. Prospektiva, randomiserade kliniska prövningar har hittills setts som det enda sättet att ta fram vetenskaplig kunskap i vården, men de kräver orimligt höga resurser för att täcka kunskapsbehovet och kostnaderna skjuter i höjden. Kliniska forskare världen över söker därför efter snabbare, smartare och mer resurseffektiva alternativ.

Den första Nordiska konferensen om pragmatiska kliniska studier hölls i Uppsala i december 2017 och samlade forskare, sjukvårdspersonal, regulatoriska myndigheter, patientrepresentanter och läkemedels- och medicintekniska företag från tio länder. Möjligheter och utmaningar med pragmatiska kliniska studier diskuterades under två dagar.



– Vi behöver större studier av högre kvalitet. Vi behöver snabbare studier med bättre design. Vi behöver mer kostnadseffektiva studier. Och vi behöver dem nu för patienternas skull, inledde Jonas Oldgren, verksamhetschef för Uppsala Clinical Research Center.

Äktenskap mellan kunskap och teknologi

Huvudtalaren Robert Califf, tidigare chef för FDA och nu verksam vid Duke University och vid företaget Verily, beskrev pragmatiska kliniska studier som ett äktenskap mellan kunskap och teknologi som nu är redo att ta steget fullt ut. Han betonade vikten av samarbete för att öka den medicinska kunskapen via digitala hälso- och sjukvårdsdata.

Sverige och övriga nordiska länder har en särställning inom klinisk forskning på grund av sina välutvecklade



” Sverige och övriga nordiska länder har en särställning inom klinisk forskning på grund av sina välutvecklade sjukvårds- och befolkningsregister.

sjukvårds- och befolkningsregister. Digitaliseringen av registren under de senaste åren har skapat unika möjligheter för forskning och utveckling av sjukvården. Det samlade intrycket under konferensen var att fokus nu behöver flyttas från insamling av data mot sortering av och samarbete kring data. Infrastrukturer behöver utnyttjas och kombineras snarare än skapas. De viktiga kliniska frågorna behöver ställas, för svaren finns inom räckhåll.

Under konferensen presenterades ett flertal kreativa och lovande exempel på pågående och genomförda pragmatiska studier, ofta baserade på nationella kvalitetsregister. Konceptet registerbaserade randomiserade kliniska prövningar (registry-based randomised clinical trials, R-RCT) håller på att mogna, och svenska nationella riktlinjer för R-RCT kommer presenteras under 2018. En R-RCT använder



	Klassisk klinisk prövning	Pragmatisk klinisk studie
Frageställning	Fungerar behandlingen under ideala förhållanden?	Är behandlingen av nytta i den kliniska vardagen?
Patienturval	Snävt urval	Brett, representativt urval
Mål	Fördjupad vetenskaplig kunskap	Val av behandling
Effektmått	Mekanistiska/surrogat	Kliniskt relevanta

Skillnader mellan traditionella kliniska (läkemedels)prövningar och pragmatiska randomiserade studier.

ett kvalitetsregister för en eller flera funktioner i en klinisk studie, till exempel för patientrekrytering, randomisering och/eller uppföljning.

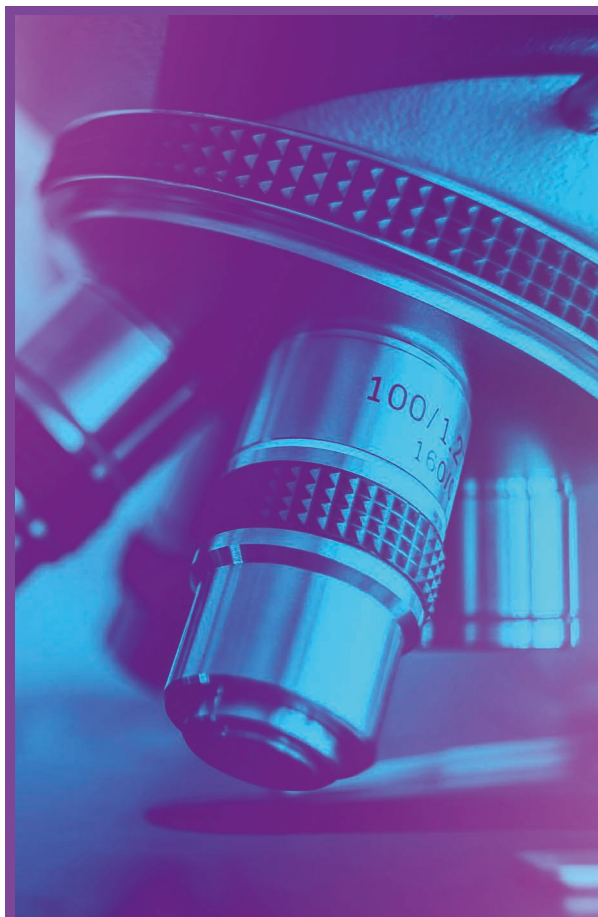
Men trots den lovande utvecklingen av pragmatiska kliniska studier så kvarstår juridiska, etiska och praktiska utmaningar. Det finns till exempel ännu ingen vedertagen regulatorisk definition av pragmatiska studier. Den kommande EU-förordningen om kliniska prövningar öppnar visserligen för "låginterventionsprövningar" av redan godkända läkemedel med mindre stränga krav på till exempel uppföljning, men formen behöver definieras närmare. Frågor kring användandet av elektroniskt patientmedgivande måste också besvaras.

” Men trots den lovande utvecklingen av pragmatiska kliniska studier så kvarstår juridiska, etiska och praktiska utmaningar.”

Stimulerande diskussioner

Konferensens upplägg och inramning på Uppsala Konsert och Kongress uppmuntrade till kontakt mellan talare och publik och stimulerade till diskussioner mellan deltagare med olika bakgrund. Många av deltagarna framhöll de nordiska ländernas unika möjligheter och ansvar att dra nytta av sina respektive styrkor och ta ledningen internationellt för att vidareutveckla pragmatiska randomiserade kliniska studier.

Den Nordiska konferensen om pragmatiska kliniska studier organiserades av Forum Uppsala-Örebro, en del av Kliniska Studier Sverige, i samarbete med Uppsala Clinical Research Center (UCR). Konferensen finansierades av Nordic Trial Alliance. För mer information om konferensens innehåll och om kommande aktiviteter besök www.npcs.se.



PRAGMATISKA KLINISKA STUDIER

Klassiska kliniska prövningar studerar om en behandling fungerar under ideala förhållanden i ett snävt patienturval. Pragmatiska randomiserade kliniska studier fokuserar i stället på huruvida en behandling är av nytta i den kliniska vardagen, hos den verkliga patientgruppen (se tabell ovan). Pragmatiska studier kan inte ersätta traditionella kliniska prövningar vid utveckling av nya läkemedel, men kan komplettera dem när det gäller bland annat val av behandling.

VENDELA ROOS
Projektsamordnare,
Uppsala Clinical Research Center

