

**At deltage i afprøvning af nye lægemidler
– pligt eller mulighed?**

v. Jannie Schymann, Alfa- 1-
patient

Hvad er alfa-1 Antitrypsinmangel?

- En genetisk bestemt, arvelig sygdom
- At leve med alfa-1
 - Begrænsninger i arbejdsevnen
 - Begrænsninger i livsudfoldelse
 - Begrænsninger af omgivelser
 - Skammen

Mødet med sundhedssystemet, som “rigtig” patient – første forsøgsrunde

- At få stillet en diagnose, -egen research
- Den behandling jeg tilbydes i Danmark
- Den behandling, alfa-1 patienter tilbydes i Tyskland, USA, Spanien, Italien, Tjekkiet, Grækenland mm.
- Hvorfor får vi ikke samme behandling ?
- Forsøg i Danmark foretaget i 1980erne stoppes

Min debut - anden forsøgsrunde !

- Overvejelser om at deltage i forsøget.
- I forsøg fra 2004-2006 – drevet af pligt og entusiasme omkring at skaffe medicin til alle
- Forvirrende at være patient, når resultatet gøres op !
- Resultaterne godkendes ikke
 - Uenighed om målemetoder, signifikans og evidens
- Lægemiddelstyrelsen / Sundhedsstyrelsen / det politiske system
- Årsmøde i DLS betyder manglende ibrugtagen

Tredje forsøgsrunde!

- 2008-2012, NYT forsøg – samme vin på nye flasker og samme konditioner
- Metode stadig omdiskuteret – som målemetode og i forhold til bivirkninger
- Videnskabsetisk komite
- Min eneste mulighed for at få medicin
- Gode resultater – men stadig ingen adgang til medicin

Fjerde forsøgsrunde !

- For få måneder siden startede et nyt – fjerde – forsøg med forskellige doseringer
- Jeg vil ikke være med, selvom det er min eneste adgang til medicinsk behandling i Danmark.
 - Jeg er bange for bivirkningerne ved CT-scanningerne (akkumuleret effekt)
 - Jeg har mistet tilliden, har svært ved at tro på, at det vil føre til adgang til behandling for mig selv eller for andre
- Desværre – for min lungefunktion er klart for nedadgående

Hvad kunne være bedre ?

- set fra patientens stol

- Spilleregler for opsætning af forsøg skal være afklaret inden forsøget går i gang
 - Målemetoder
 - Bivirkninger/risici
 - Evidenskrav
- Vi har brug for, at have tillid til forsøgslederen, og blive medinddraget og fuldt informeret undervejs
- Gennemsigtighed og klar ansvarsfordeling i forhold til ibrugtagningen af medicin – (nogen må have en klar initiativpligt)
- Tvivlen er IKKE kommet os alfa-1 patienter til gode – alvorlig sygdom, det haster!!