



LÆGEMIDDELSTYRELSEN
DANISH MEDICINES AGENCY

Årsrapport 2019

Kliniske forsøg med lægemidler



© Lægemiddelstyrelsen, 2020

Du kan frit referere teksten i publikationen, hvis du tydeligt gør opmærksom på, at teksten kommer fra Lægemiddelstyrelsen.

Det er ikke tilladt at genbruge billeder fra publikationen.

Lægemiddelstyrelsen
Axel Heides Gade 1
2300 København S
lmst.dk

Emneord

Kliniske forsøg, årsrapport, 2019, statistikker

Sprog

Dansk

Version

1

Versionsdato

Juni 2020

Udgivet af

Lægemiddelstyrelsen Juni 2020

ISBN Elektronisk

978-87-92390-40-0

Indhold

1	Resumé	4
2	Ansøgninger om kliniske forsøg	5
3	Fordeling af multinationale og nationale forsøg	7
4	Fordeling af forsøg på fase og sponsortype	8
5	Ansøgninger fordelt på terapiområder	9
6	Forventede antal forsøgspersoner	10
7	Danmarks andel af forsøg i EU	11
8	Voluntary Harmonisation Procedure	12
9	Rådgivning	14
10	Vigtig information om rapporten	15

1

Resumé

Denne årsrapport indeholder de vigtigste tal for sektionen Kliniske Forsøg fra 2019.

Antallet af ansøgninger om kliniske forsøg med lægemidler svinger ikke kun fra måned til måned, men også fra år til år. 2019 var et år, hvor vi så en stigning i antallet af ansøgninger om kliniske forsøg med lægemidler i forhold til 2018.

I 2019 modtog Lægemiddelstyrelsen 319 ansøgninger om kliniske lægemiddelforsøg med mennesker, hvilket er en stigning på knap 11 % i forhold til det antal vi modtog i 2018. Denne stigning er primært drevet af et højere antal forsøg fra de non-kommercielle sponsorer.

Fordelingen af ansøgningerne på udviklingsfase og sponsortype følger tendensen fra forrige år. De non-kommercielle sponsorer dominerer således fortsat i antallet af fase IV forsøg og de kommercielle dominerer i antallet af fase III forsøg.

Der er sket en stigning i forventede antal danske deltagere i kliniske forsøg i 2019. Dette er en markant stigning på knap 16 % i forhold til år 2017, et år hvor der blev modtaget flere forsøg end i 2019 (324).

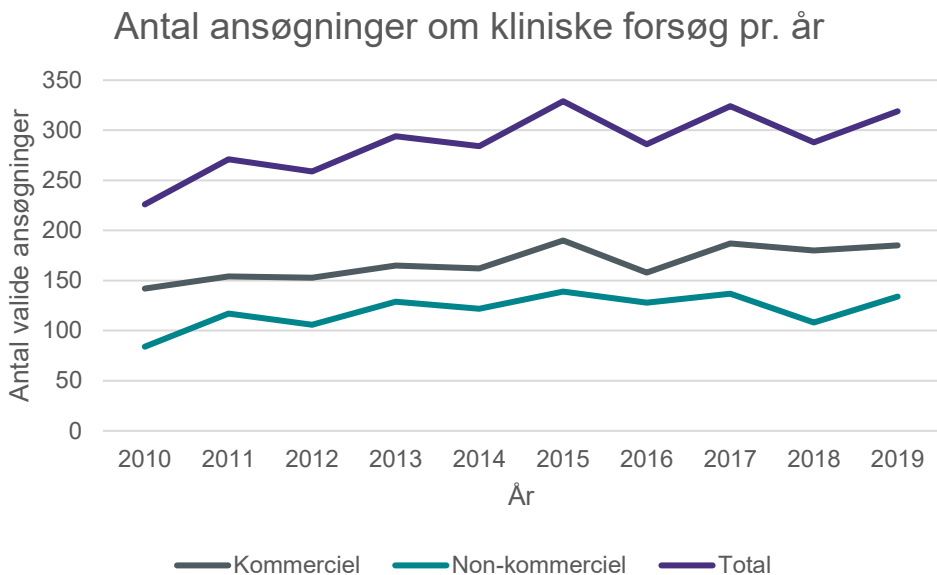
I 2019 var Danmark referenceland i 8 sager i Voluntary Harmonisation Procedure ([VHP](#)), hvilket betyder at Danmark tog den ledende rolle i vurderingen af VHP ansøgningen. Det er et markant fald i forhold til 2018, som delvist skyldes fordelingsnøglen i selve (VHP) proceduren (jo mere aktiv et medlemsland er, jo sværere bliver det at få referencelandsrollen).

2

Ansøgninger om kliniske forsøg

I 2019 modtog Lægemiddelstyrelsen 319 ansøgninger om kliniske forsøg med lægemidler til mennesker, hvilket er en stigning på knap 11 % sammenlignet med antallet af ansøgninger modtaget i 2018, se figur 1. Der har de seneste år været udsving i antallet af kliniske forsøgs-ansøgninger år til år på omkring 10 %.

I alt blev 301 af de 319 valide ansøgninger godkendt, hvilket svarer til 94 % af alle ansøgte forsøg i 2019. Fire ansøgninger blev afslået, 12 ansøgninger blev trukket tilbage af ansøger inden sagsbehandlingen var afsluttet, og ved to sager er der endnu ikke truffet en endelig afgørelse.



Figur 1. Udviklingen i antal ansøgninger om kliniske forsøg fra 2010-2019.

Stigningen i antallet af ansøgninger om kliniske forsøg med lægemidler til mennesker i 2019 er drevet primært for de non-kommercielle sponsorer, se tabel 1.

Antal kliniske forsøg anmeldt til Lægemiddelstyrelsen			
År	Kommerciel sponsor	Non-kommerciel sponsor	Total
2015	190	139	329
2016	158	128	286
2017	187	137	324
2018	180	108	288
2019	185	134	319

Tabel 1. Antallet af ansøgninger om kliniske forsøg i perioden 2015-2019 fordelt på sponsor-type.

I 2019 modtog Lægemiddelstyrelsen derudover 10 ansøgninger om kliniske forsøg med veterinære lægemidler, hvoraf et enkelt blev tilbagetrukket af ansøger. Det er en stigning i forhold til 2018, hvor kun 5 veterinæransøgninger blev modtaget.

3

Fordeling af multinationale og nationale forsøg

Ud af 319 ansøgninger om kliniske forsøg udføres 215 af disse både i Danmark og andre lande (multinationale forsøg), mens knap en tredjedel af forsøgene (104) udelukkende udføres i Danmark (nationale forsøg). Fordelingen svarer til det foregående år.

	Multinationale forsøg			Nationale forsøg		
	Kommerciel	Non-kommerciel	Alle forsøg	Kommerciel	Non-kommerciel	Alle forsøg
2015	177	30	207	13	109	122
2016	151	26	177	7	102	109
2017	174	29	203	13	108	121
2018	171	27	198	9	81	90
2019	182	33	215	3	101	104

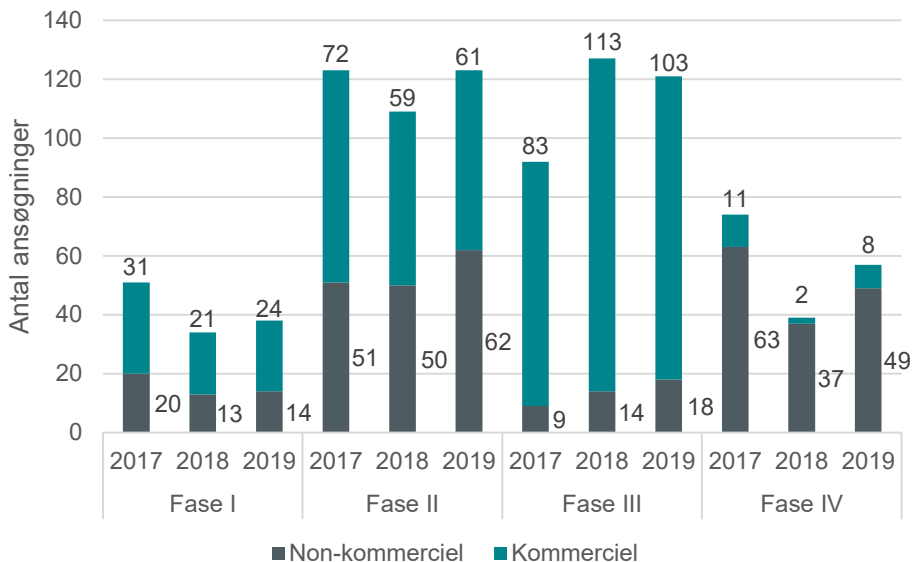
Tablet 2. Fordeling af multinationale og nationale forsøg fordelt på sponsortype i perioden 2015-2019.

4

Fordeling af forsøg på fase og sponsortype

Fordelingen af ansøgningerne på udviklingsfase og sponsortype følger tendensen fra forrige år. De non-kommercielle sponsorer dominerer således fortsat i antallet af fase IV forsøg. I forbindelse med Finansloven 2018 blev Lægemedelstyrelsens gebyrer fjernet for denne gruppe sponsorer. Det indebærer, at de ikke skal betale for at søge tilladelse til at starte forsøg, få lavet væsentlige ændringer eller betale årsgebyrer. Der ses en stigning i antallet af de gebyrfritaget forsøg i 2019 i forhold til 2018, se figur 2.

Det skal bemærkes, at et ansøgt klinisk forsøg kan dække over flere faser, og derfor er nedenstående figur ikke repræsentativ for det totale antal forsøg.



Figur 2. Fordelingen af antallet af forsøg i forhold til udviklingsfase og sponsortype 2017-2019.

5

Ansøgninger fordelt på terapiområder

Onkologien er igen i år det hyppigst forekommende terapiområde blandt ansøgninger om kliniske lægemiddelforsøg (se tabel 3). Antallet af ansøgninger inden for onkologien er tre gange større end det næstmest hyppige terapiområde, som er medfødte, familiære og genetiske sygdomme.

Anmeldte forsøg fordelt på terapiområder		
MedDRA ¹ kode for terapiområde	Antal forsøg	Forsøgspersoner
Godartede, ondartede – og uspecificerede tumorer (inkl. cyster og polypper)	94	6245
Medfødte, familiære og genetiske sygdomme	29	390
Neurologiske lidelser	27	607
Stofskifte – og ernærings sygdomme	20	1.282
Muskuloskeletale og bindevævs lidelser	19	1.005
Kardiologiske lidelser	14	1.203
Lidelser i luftveje, brystkasse og mellemgulv	14	807
Hud og underhudssygdomme	14	244
Mave-tarm sygdomme	13	644
Infektioner	11	2.729

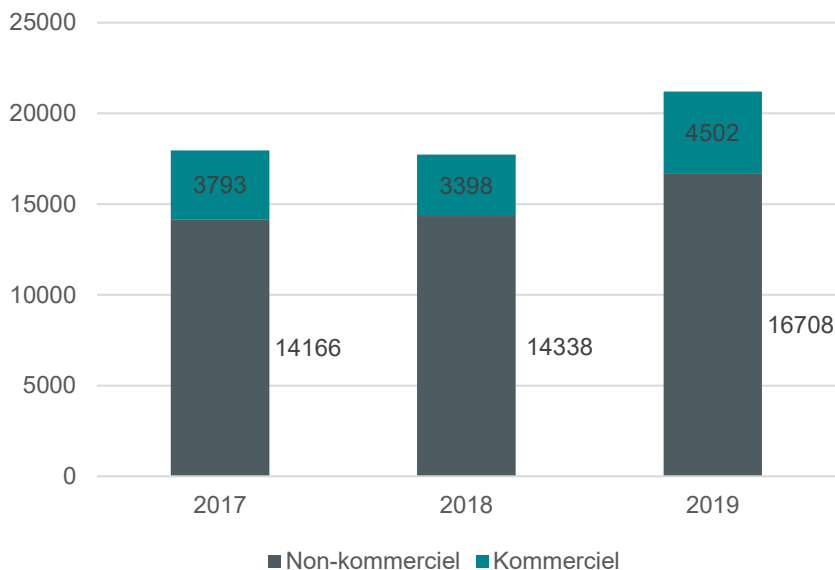
Tablet 3: Top 10 terapiområder i forhold til antallet af ansøgninger om kliniske forsøg i 2019 og antallet af planlagte forsøgspersoner i Danmark.

¹ Medical Dictionary of Regulatory Activities

6 Forventede antal forsøgspersoner

Der forventes 21.210 danske deltagere inkluderet i de 319 ansøgninger, som blev modtaget i 2019, se figur 3. Dette er en markant stigning på knap 16 % i forhold til år 2017, et år hvor der blev modtaget flere forsøg end i 2019 (324).

Fordelingen af antallet af planlagt inkluderede patienter i henholdsvis kommercielle og non-kommercielle forsøg ligger dog forholdsvis stabilt i perioden 2017-2019.



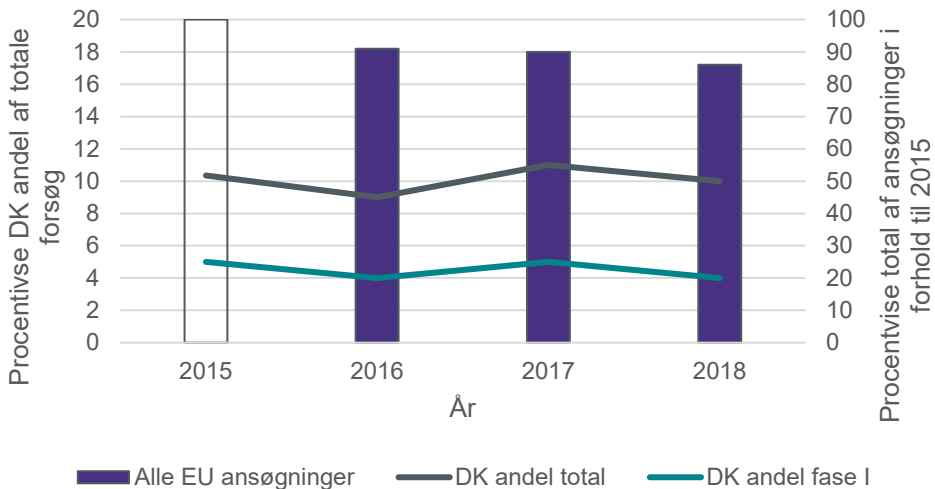
Figur 3. Forventet antal inkluderede patienter på danske sites fordelt på sponsortype fra 2017-2019.

7

Danmarks andel af forsøg i EU

I årsrapporten for 2017 blev figur 4 introduceret, som viser en opgørelse fra EudraCT databasen over det totale antal kliniske forsøg i EU. EudraCT databasen er dynamisk og opgørelser herfra er et øjebliksbillede, hvilket ligger til grund for, at tallene for de forgange år bliver opgjort på ny ved opdatering af årsrapporten. Dette har medført mindre korrektioner i antallet af forsøg i årene 2017 og 2018.

År 2019 er ikke inkluderet, da det ikke er retvisende pga. efterslæb af registreringerne i de europæiske medlemslande.



Figur 4. Udviklingen af antal ansøgninger om kliniske forsøg i EU med afsæt i 2015 niveauet (baseline) og Danmarks andel i henholdsvis alle faser og specifikt fase I (herunder FIH) fra 2015-2018.

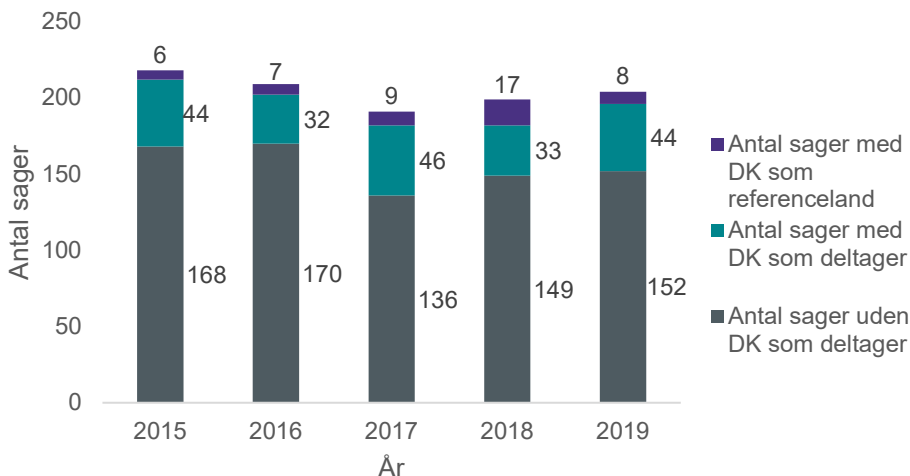
8

Voluntary Harmonisation Procedure

Siden 2009 har det været muligt at få en koordineret videnskabelig vurdering af et forsøg, som planlægges gennemført i mere end tre europæiske lande, gennem den frivillige procedure Voluntary Harmonisation Procedure ([VHP](#)). Proceduren tilbydes af den europæiske arbejdsgruppe CTFG ([Clinical Trials Facilitation Group](#)). Gruppen blev nedsat af Heads of Medicines Agencies i 2004, med det formål at koordinere og tilstræbe harmonisering af beslutninger og administrative procedurer relateret til GCP-direktivet 2001/20/EF, som trådte i kraft i 2004.

Ud af de i alt 52 VHP forsøg Danmark deltog i, blev 10 forsøg godkendt under VHP-plus processen, hvor den Nationale Videnskabsetisk Komité (NVK) deltager. [VHP-plus](#) er i Danmark en pilot for kliniske forsøgsforordningen, hvor NVK og Lægemiddelstyrelsen skal samarbejde i udarbejdelsen af vurderingsrapporten. Da det kun er NVK, der skal vurdere kliniske forsøg med lægemidler, når forordningen finder anvendelse, er VHP-plus den måde Danmark kan få indsamlet erfaring og sikrer, at vi er forberedte til forordningen. I VHP-plus anvendes den samme vurderingsrapport og der er tilnærmelsesvis de samme deadlines som i forordningen. Da NVK ikke i dag vurderer alle lægemiddelforsøg, er det kun [visse kliniske forsøg](#), der indgår i VHP-plus.

Danmark var referenceland i 8 sager fra 2019, hvilket betyder at Danmark tog den ledende rolle i EU for vurderingen af VHP ansøgningen. Det er et markant fald i forhold til 2018, som delvist skyldes fordelingsnøglen i selve VHP proceduren. Pga. Danmarks mange VHP reference sager i 2018 har vi været lavt prioriteret i fordelingsnøglen i 2019.



Figur 5. Antallet af forsøg, der er behandlet i Voluntary Harmonisation Procedure fra 2015-2019.²

² Vi gør opmærksom på, at der har fremgået en fejl i tallene for VHP sager i årsrapporten for 2018. Der er således sket en nedjustering af de samlede antal sager i 2018. Figuren er desuden ændret således, at det totale antal VHP sager i EU er angivet for året (204 i 2019). Der er set en mindre fremgang af antallet af VHP sager i EU siden 2017.

9

Rådgivning

Lægemiddelstyrelsen støtter udviklingen af lægemidler ved at tilbyde nationale videnskabelige rådgivningsmøder, kaldet national scientific advices (NSA). Disse rådgivningsmøder omhandler blandt andet design af studier, den prækliniske udvikling og andre videnskabelige spørgsmål til udviklingen af lægemidler. Dette kan være fra før medicinen er afprøvet i klinikken og frem til markedsføring, som også inkluderer afprøvning af markedsførte lægemidler til nye indikationer.

Sektion for Kliniske Forsøg er involveret i mange af disse NSA og dertil deltages og rådgives der ved europæiske scientific advices gennem Scientific Advice Working Party (SAWP), og med avancerede celleterapier i Committee for Advanced Therapies (CAT), som begge er forankret i European Medicines Agency (EMA).

I 2019 deltog sektion for Kliniske Forsøg i 8 NSA og 5 SAWP advices. Der var generelt en overvægt af ansøgere med innovative bioteknologiske produkter, og specielt en stor interesse for rådgivning til forsøg med multispecifikke antistoffer mod cancer. Omkring halvdelen af rådgivningen vedrørte overgangen fra det sene udviklingsstadium i laboratoriet og til produktets introduktion i klinikken til afprøvning i mennesker for første gang.

Rådgivningen domineres af indikationer inden for onkologien (hæmatologiske, metastatisk eller advanced solide tumorer) ofte med immunmodulatorisk sigte, men favner også behandlinger indenfor diabetiske comorbiditeter, reumatologiske lidelser og karsygdomme.

I feltet med avancerede celleterapier (Advanced Therapy Medicinal products, ATMP) deltog Kliniske Forsøg i 2019 ved 3 CAT advices, hvor fokus er at levere specialiseret rådgivning til SAWP på denne særlige type produkters udvikling. Ligeledes bidrager Kliniske Forsøg i to procedurer under det såkaldte Priority Medicines (PRIME) i EMA hvor objektivet er at sikre øget videnskabelig støtte og rådgivning til udvikling af medicin til behandling af sygdomme, hvor ingen behandling findes (såkaldt unmet medical need).

10

Vigtig information om rapporten

Denne rapport er primært baseret på data fra den fælleseuropæiske database EudraCT, som blev oprettet ved implementeringen af direktiv 2001/20/EF i 2004. Data er trukket i maj 2019 og er et øjebliksbillede af de data og den datakvalitet, der er i EudraCT. Data fra andre EU lande er ikke nødvendigvis valideret i samme omfang som det gøres i Danmark, hvilket giver en større usikkerhed ved international sammenligning. Det forventes at denne usikkerhed på tallene i EU har samme år til år variation, hvorfor der udelukkende ses på tendenser i udviklingen. Ovenstående gælder ikke for opgørelsen af VHP forsøg, idet data for VHP er hentet fra den validerede VHP database.

Årsrapporten præsenterer data for alle kliniske forsøg, hvor der er modtaget en komplet ansøgning i Lægemiddelstyrelsen i 2019, og omfatter derfor også forsøg, som kan være sagsbehandlet i 2020.

Årsrapporten er ikke udtryk for den samlede kliniske lægemiddeludvikling i Danmark, da mange forsøg udføres over flere år.