



Vetenskapsrådet

# STATISTIK FÖR LÄKEMEDELSPRÖVNINGAR UR ETT PATIENTPERSPEKTIV



# STATISTIK FÖR LÄKEMEDELSPRÖVNINGAR UR ETT PATIENTPERSPEKTIV

Christian Thörn

STATISTIK FÖR LÄKEMEDELSPRÖVNINGAR UR ETT PATIENTPERSPEKTIV

VETENSKAPSRÅDET

Box 1035

SE-101 38 Stockholm

VR1714

ISBN 978-91-7307-358-5

---

# FÖRORD

---

Kliniska studier behövs för att förbättra läkemedel, behandlingsmetoder och medicinteknik, som utvecklar hälso- och sjukvården och ger patienter bättre vård. Vetenskapsrådet har ett uppdrag att stödja och utveckla förutsättningarna för kliniska studier i Sverige, liksom att redovisa statistik, analys och uppföljning inom området. Denna rapport beskriver läkemedelsprövningar ur ett patientperspektiv.

## **Läkemedelsprövningar utgör 10 procent av kliniska studier**

Läkemedelsprövningar utförs inom akademin, hälso- och sjukvården och life science-industrin och utgör en viktig del av kliniska studier. Mycket av den hittills tillgängliga statistiken har fokuserat på antalet läkemedelsprövningar i landet, där trenden under en lång rad år har varit nedåtgående. Läkemedelsprövningar utgör tio procent av den forskning som etikprövningsnämnderna godkänner varje år. Statistiken kopplat till antal läkemedelsprövningar bör därför användas med försiktighet när det gäller tolkningar av klinisk forskning eller kliniska studier som helhet.

## **Statistik kring patientdeltagande breddar bilden**

Den här rapporten beskriver antalet läkemedelsprövningar inom olika sjukdomsgrupper men breddar också perspektivet genom att belysa patientdeltagande inom olika sjukdoms- och åldersgrupper. Informationen kan ha ett värde för att beskriva trender, men kan också bidra till att identifiera områden där det finns utvecklingspotential för nya läkemedelsprövningar.

Håkan Billig, ordförande i Kommittén för kliniska studier (2014-2017).

---

# INNEHÅLL

---

FÖRORD .....	2
SAMMANFATTNING .....	4
SUMMARY .....	5
STATISTIK FÖR LÄKEMEDELSPRÖVNINGAR UR ETT PATIENTPERSPEKTIV .....	6
Stor variation i planerad patientrekrytering .....	6
Låg andel unga i läkemedelsprövningar .....	6
Engagemang i internationella läkemedelsprövningar .....	7
Planerat antal patienter visar en ny bild av läkemedelsforskningen .....	8
Få patienter deltar i läkemedelsprövningar .....	9
EudraCT och Socialstyrelsen som datakälla .....	9
REFERENSLISTA .....	11

---

## SAMMANFATTNING

---

Syftet med den här rapporten är att komplettera bilden av läkemedelsforskningen i Sverige genom att fokusera på de patienter som deltar i studierna. Den planerade rekryteringen av patienter (inklusionen) till läkemedelsprövningar i Sverige varierar kraftigt. Jämfört med antalet patienter i Socialstyrelsens patientregister framgår dessutom att det, oavsett diagnosområde, är en liten andel av patienterna som deltar i prövningar. Högst andel står patienter diagnostiserade med blodsjukdomar eller rubbningar i immunsystemet för, där 1,5 procent deltar i prövningar.

Sammanställningen visar också att storleken på de olika ämnesområdena inom läkemedelsforskningen skiljer sig mycket åt, beroende på om uppdelningen görs utifrån antal patienter eller antal prövningar. Tittar man på antal patienter är hjärt- och kärlsjukdomar tillsammans med lungsjukdomar det största forskningsområdet. Om man istället tittar på antal prövningar så blir cancerområdet störst.

Några andra av de resultat som sammanställningen visar är att andelen barn och ungdomar i läkemedelsprövningar är låg, runt fem procent. När det gäller svenska patienter i internationella prövningar som förläggs till Sverige, ligger andelen på runt fyra procent.

Rapporten bygger på data från perioden 2010-2016 och är avgränsad till läkemedelsprövningar där svenska patienter deltar. Datakällor är den europeiska databasen för läkemedelsprövningar (European Clinical Trials Database, EudraCT) med data för planerad patientrekrytering och Socialstyrelsens register för antal diagnoser hos svenska patienter.

---

## SUMMARY

---

The purpose of this report is to provide new statistics on pharmaceutical research in Sweden by focusing on the patients participating in the trials. The planned recruitment of patients for clinical trials in Sweden varies considerably. In addition, only a small proportion of patients are participating in trials regardless of the diagnosis area, when compared to the number of patients in the National Board of Health and Welfare's patient records. Patients diagnosed with blood diseases and disorders in the immune system are included the most, 1.5 percent participate in trials.

This report also shows that the apparent size of the areas of pharmaceutical research differs depending on whether the division is based on the number of patients or the number of trials. Looking at the number of patients, cardiovascular diseases combined with lung diseases is the largest research area. If you look at the number of trials instead, the cancer field is the largest.

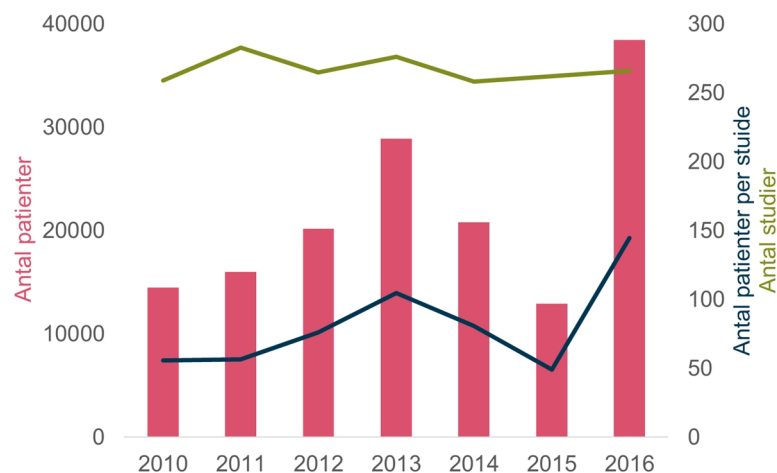
The data from patient recruitment shows that Sweden's patient share in international trials, where Sweden participates, is around four percent. In addition, it appears that the proportion of children and adolescents in clinical trials is low, around five percent.

The report is based on data from the period 2010-2016 and is limited to clinical trials involving Swedish patients. Data sources are the European Clinical Trials Database (EudraCT) with data for planned patient recruitment, and the National Board of Health and Welfare's registry for number of diagnoses for Swedish patients.

# STATISTIK FÖR LÄKEMEDELSPRÖVNINGAR UR ETT PATIENTPERSPEKTIV

## Stor variation i planerad patientrekrytering

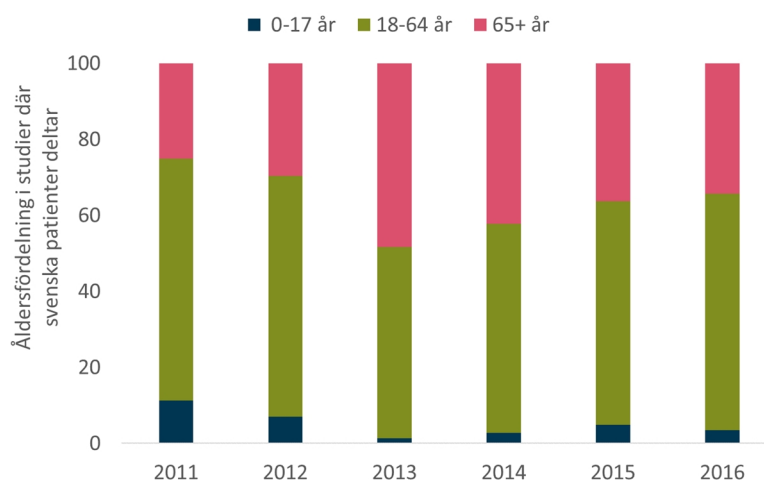
Sedan 2010 har den planerade patientrekryteringen till svenska läkemedelsprövningar varierat mellan 12 900 och 38 400 patienter per år (figur 1). Antalet läkemedelsprövningar låg under samma period stabilt runt 270 studier (antalet studier skiljer sig beroende på datakälla och kommenteras i rapportens sista avsnitt). Antalet patienter per studie låg årligen mellan 50-150 och varierar i likhet med den planerade patientrekryteringen.



**Figur 1. Total planerad patientrekrytering (rosa staplar), planerad patientrekrytering per studie (blå kurva), samt antalet studier (grön kurva) för läkemedelsprövningar i Sverige. Källa EudraCT.**

## Låg andel unga i läkemedelsprövningar

I de läkemedelsprövningar där svenska patienter deltog var i genomsnitt fem procent barn och ungdomar, 58 procent var i arbetsför ålder och 37 procent var äldre än 65 år (figur 2). Sett till antalet studier så rekryterades barn och ungdomar helt eller delvis i 12 procent utav prövningarna. I sex procent av prövningarna rekryterades enbart barn och ungdomar.



**Figur 2. Åldersfördelning för hela patientunderlaget i läkemedelsprövningar där Sverige deltog. Källa EudraCT.**

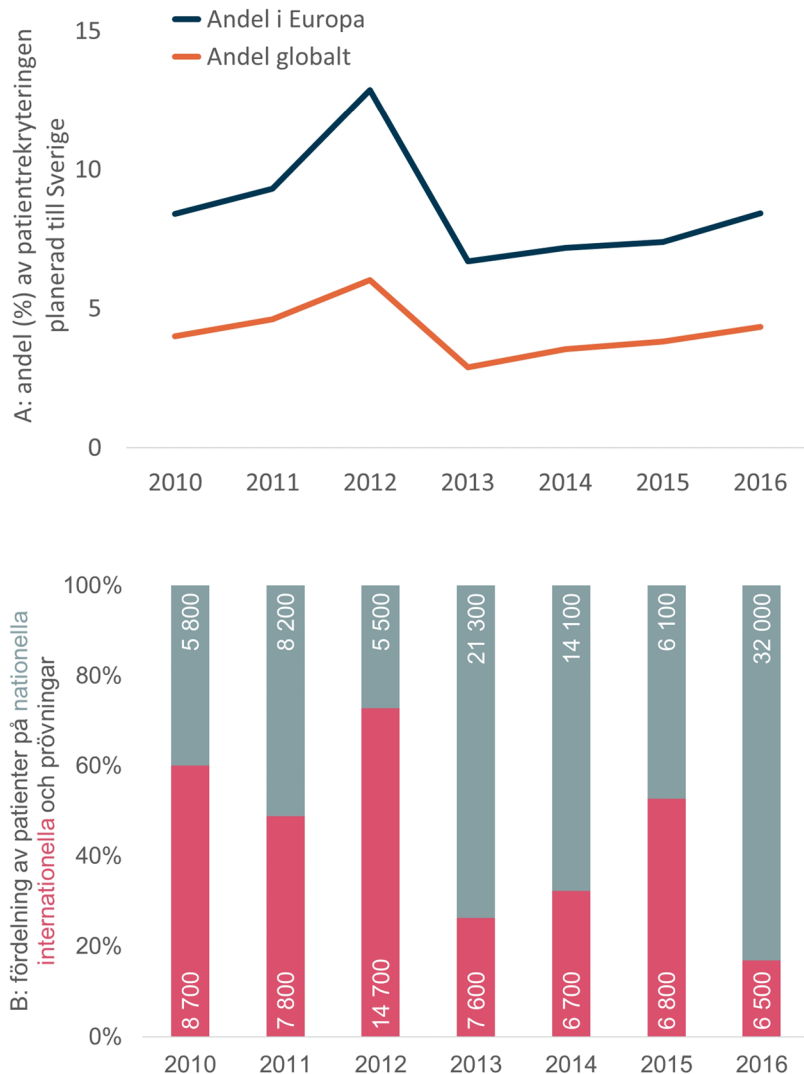


## Engagemang i internationella läkemedelsprövningar

Traditionellt sett har läkemedelsprövningarna delats upp i industri- eller akademiinitierad forskning, där industrin står för 69 procent av prövningarna [1]. Statistik om patientrekrytering ger möjlighet att istället göra uppdelningen på nationella och internationella prövningar och samtidigt mäta Sveriges patientandel.

71 procent av de läkemedelsprövningar som förlades till Sverige under perioden 2010-2016 var internationella. Dessa studier stod för 39 procent av de rekryterade patienterna. De internationella läkemedelsprövningarna rekryterade i snitt 1 060 patienter, varav 40 svenska patienter, det vill säga fyra procent (figur 3A). Motsvarande siffra för nationella läkemedelsprövningar var 170 patienter. Av de europeiska patienterna i de internationella studierna, var andelen svenska patienter nio procent.

Fördelningen mellan planerat deltagande av svenska patienter i nationella och internationella läkemedelsprövningar varierade under perioden (figur 3B). Den planerade patientrekryteringen till internationella läkemedelsprövningar låg mellan 6 500 och 14 700. Motsvarande siffra i nationella prövningar varierade i större utsträckning, mellan 5500 och 32 000.



**Figur 3. A: Andel av patientrekryteringen som planerades till Sverige i internationella läkemedelsprövningar med svenskt deltagande. B: Andel av svenska patienter (procent av planerad patientrekrytering) som deltog i nationella respektive internationella läkemedelsprövningar. Utmärkt på staplarna står den faktiska planerade patientrekryteringen. Källa EudraCT.**

## Planerat antal patienter visar en ny bild av läkemedelsforskningen

När planerad patientrekrytering i svenska läkemedelsprövningar kopplas till olika kliniska forskningsområden var det hjärt-, kärl- och lungsjukdomar som involverade flest patienter mellan 2012 och 2016 (figur 4A, se kommentar i rapportens sista stycke). Denna bild av läkemedelsforskningen skiljer sig från tidigare rapporterad statistik från LIF och SOU:n ”Starka tillsammans” där cancerområdet är störst sett till antalet prövningar [2], [3]. Även i den här sammanställningen blir cancersjukdomar det största forskningsområdet när man tittar på antalet prövningar (figur 4B). Medelvärde för antalet svenska patienter per läkemedelsprövning varierade mellan olika forskningsområden. För cancer låg siffran på 30 patienter medan motsvarande siffra för narkos och smärtlindring låg på 400 patienter.



**Figur 4. A: Fördelning av planerad patientrekrytering på olika forskningsområden för svenska läkemedelsprövningar under perioden 2012-2016. B: Fördelning av antal svenska läkemedelsprövningar på olika forskningsområden under perioden 2012-2016. Källa EudraCT.**

## Få patienter deltar i läkemedelsprövningar

Socialstyrelsen tillhandahåller information om antalet unika patienter i Sverige (prevalensdata från patientregistret uppdelad enligt standarden ICD-10, som är en internationell statistisk klassifikation av sjukdomar och relaterade hälsoproblem) uppdelade på olika diagnosområden. När den planerade patientrekryteringen som finns registrerad i EudraCT jämförs med antalet patienter i aktuellt patentregister går det att få fram den andel av svenska patienter som årligen får möjlighet att delta i läkemedelsprövningar (tabell 1). Här framgår att det, oavsett diagnosområde, är mycket ovanligt att patienter deltar i läkemedelsprövningar.

**Tabell 1. Antal unika patienter i slutenvård och specialiserad öppenvård (ej primärvård) hämtat från patientregistret hos Socialstyrelsen, samt andel av patienterna som deltar i läkemedelsprövningar utifrån planerad patientrekrytering. Siffrorna från Socialstyrelsen motsvarar årligt medelvärde för perioden 2012-2016 och inkluderar hela Sverige, alla åldrar och kvinnor och män. Tabellen innehåller de tio områden med högst andel patienter i läkemedelsprövningar. De områden som saknas i tabellen ligger på 0,2 procents andel eller lägre.**

Huvuddiagnosområde	ICD-10-kod	Antal patienter per år	Andel (%) patienter i läkemedelsprövningar
Blodsjukdomar och rubbningar i immunsystemet	D50-D89	41000	1,5
Hjärt- och kärlsjukdomar	I00-I99	348000	1,4
Infektions- och parasitsjukdomar	A00-B99	189000	0,9
Endokrinologi, nutritionsrubbningar och ämnesomsättningsjukdomar	E00-E90	199000	0,6
Sjukdomar i urin- och könsorganen	N00-N99	456000	0,6
Psykiska sjukdomar och beteendestörningar	F00-F99	358000	0,6
Sjukdomar i nervsystemet	G00-G90	192000	0,6
Tumörer	C00-D48	369000	0,5
Andningsorganens sjukdomar	J00-J99	336000	0,4
Övriga faktorer för hälsotillståndet och kontakter med hälso- och sjukvården	Z00-Z98	1080000	0,3

## EudraCT och Socialstyrelsen som datakälla

Informationen om planerad patientrekrytering i svenska läkemedelsprövningar har, genom LäkeMedelsverket, hämtats från EudraCT och bygger på data som rapporterats av sponsorn (den organisation eller person som har huvudansvaret för prövningen och kan vara både företag eller akademisk instans). Siffrorna är planerad inklusion och kan därför skilja sig mot det faktiska antalet patienter som i slutändan har rekryterats.

De faktiska värdena för antalet läkemedelsprövningar per år i Sverige skiljer sig beroende på vilken datakälla som används. Värdena i figur 1 utgår från datum då prövningen registrerats i EudraCT och att det finns en planerad patientrekrytering rapporterad för Sverige. Tidigare rapporterad statistik, från LäkeMedelsverket, utgår framför allt från LäkeMedelsverkets ärendehanteringssystem där även återansökningar (resubmissions) räknas in, vilket motsvarar 310 läkemedelsprövningar per år under perioden 2010-2016 [1]. Skillnaderna beror också på att VHP-ansökningar (Voluntary Harmonisation Procedure, process för EU-gemensam bedömning av ansökningar) registreras vid olika tidpunkter hos de nationella läkemedelsmyndigheterna jämfört med den ursprungliga registreringen i EudraCT.

Den ursprungliga ämnesklassificeringen i EudraCT motsvarar 48 olika ämnesområden vilket genererar svåröverskådlig statistik om alla ämnen redovisas separat. Därför används ämnesgrupperingar i denna rapport, se figur 4. I grupperingen ”övriga sjukdomar och kroppsprocesser” är de fem största områdena i fallande ordning: fysiologiska processer, muskel- och skelettsjukdomar, olyckor och förgiftning, mun- och tandsjukdomar, samt blodsjukdomar.

Under 2010 och delvis 2011 saknas ämnesrapportering för många studier och därför används endast data från perioden 2012-2016 för att visa fördelningen av läkemedelsforskningen. Det är en stor årlig variation för planerad patientrekrytering inom respektive forskningsområde. I praktiken rekryterar man inom vissa forskningsområden flera tusen patienter ett år, för att året därpå endast ha en planerad inklusion av ett hundratal patienter. Därför har medelvärden för 2012-2016 använts för att ge en mer representativ bild av fördelningen mellan de olika forskningsområdena.

Inrapporteringen till EudraCT av antalet patienter i de olika ålderskategorierna brister delvis i kvalitet. Under 2010 saknas exempelvis ålderrapportering för många prövningar och ibland stämmer inte åldersrapporteringen med den globala planerade patientrekryteringen. Därför har dessa läkemedelsprövningar exkluderats i figur 4. Sedan 2011, där 15 procent av patienterna faller bort, har kvaliteten på åldersrapporteringen höjts och för 2016 är värdet nere i tre procent. I statistiken för åldersfördelningen inkluderas alla patienter i studierna och därför går det inte att dra slutsatser kring åldersfördelning av svenska patienter.

För att mäta andelen patienter som deltar i läkemedelsprövningar gjordes en mappning mellan diagnosområdena i ICD-10 som används i Socialstyrelsens register och ämnesklassificeringarna som används i EudraCT. Alla ämnesklassificeringar i EudraCT går inte att mappa mot ett specifikt diagnosområde, vilket gör att fyra procent av den planerade patientrekryteringen exkluderas.

---

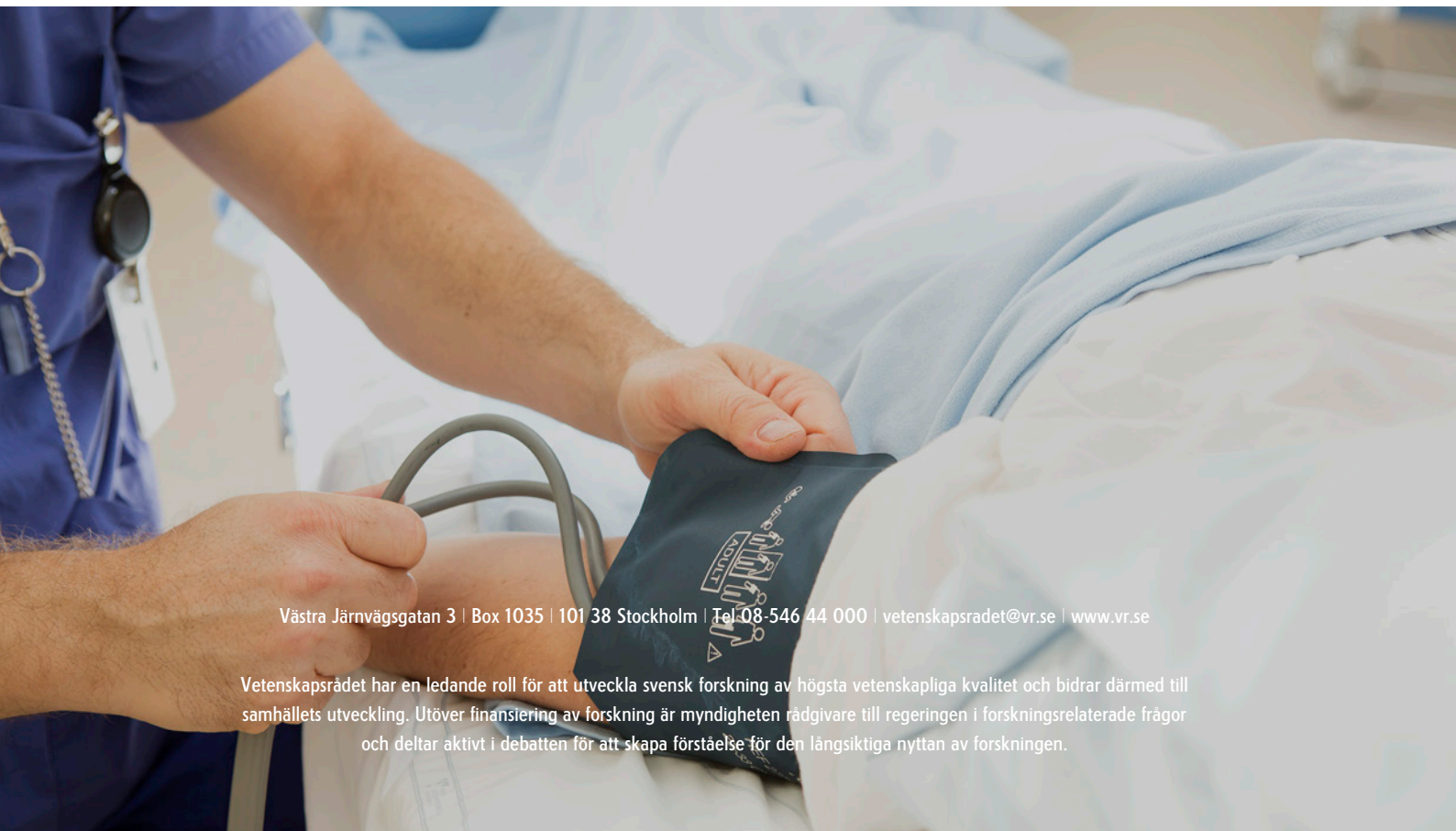
## REFERENSLISTA

---

- [1] Läkemedelsverket, *Årsstatistik för kliniska läkemedelsprövningar Sverige 2016*.  
<https://lakemedelsverket.se/upload/om-lakemedelsverket/rapporter/170116%20%C3%85rsstatistik%20f%C3%B6r%20kliniska%20%C3%A4kemedelspr%C3%B6vningar%20Sverige%202016.pdf>.
- [2] Regeringskansliet, *Starka tillsammans*, SOU 2013:87, dec. 2013.
- [3] LIF, *Forskning och utveckling av läkemedel i Sverige*. <http://lif.se/statistik/forskning-och-utveckling-av-lakemedel-i-sverige/>.

Den här rapporten från Vetenskapsrådet sammanställer statistik för läkemedelsprövningar i Sverige, med utgångspunkt i hur många patienter som planeras till prövningar. Rapporten ger en bild av fördelningen av läkemedelsforskningen mellan olika ämnesområden. Den visar även hur studiers omfattning varierar när man tittar på antalet patienter, jämfört med antalet studier. Det finns också information om Sveriges patientandel i internationella studier, liksom möjligheten att delta i läkemedelsprövningar utifrån ålder och diagnosområde.

Du hittar rapporten på [www.kliniskastudier.se/publikationer](http://www.kliniskastudier.se/publikationer)



Västra Järnvägsgatan 3 | Box 1035 | 101 38 Stockholm | Tel 08-546 44 000 | [vetenskapsradet@vr.se](mailto:vetenskapsradet@vr.se) | [www.vr.se](http://www.vr.se)

Vetenskapsrådet har en ledande roll för att utveckla svensk forskning av högsta vetenskapliga kvalitet och bidrar därmed till samhällets utveckling. Utöver finansiering av forskning är myndigheten rådgivare till regeringen i forskningsrelaterade frågor och deltar aktivt i debatten för att skapa förståelse för den långsiktiga nyttan av forskningen.