**Observationsstudier – Real World Evidence (RWE)**

Randomiserade kontrollerade studier (RCT-studier) som görs i en kontrollerad klinisk miljö i grupper av noga utvalda patienter, är grunden för att dokumentera ett läkemedels säkerhet och effekt. Det är den typ av studier som ligger till grund för godkännandet av ett läkemedel. Hälso- och sjukvården efterfrågar i allt högre utsträckning studier som även följer upp och studerar hur godkända läkemedel fungerar i klinisk verklighet, efter att ett läkemedel blivit tillgängligt för patienterna. Observationsstudier, så kallade Real World Evidence (RWE) studier, är en form av vetenskapliga studier och syftar till just detta. Observationsstudier baseras ofta på kvalitetsregisterdata och är ett viktigt komplement till randomiserade kontrollerade studier.

Kort om observationsstudier (RWE)

Sverige har en särställning i världen när det gäller förutsättningarna för uppföljnings- och observationsstudier. Grunden till detta är Sveriges unika personnummer som möjliggör länkning av data från nationella register, kvalitetsregister samt elektroniska vårdjournaler. Patientunderlaget är inte utvalt som i en randomiserad kontrollerad studie utan representerar istället den verkliga patientpopulationen. Observationsstudier möjliggör även uppföljning under en lång tid och kan inkludera stora grupper av patienter.

Observationsstudier tillför ny kunskap som de randomiserade kontrollerade studierna inte kan ge, och grundas på väletablerade vetenskapliga metoder inom epidemiologi, statistik och hälsoekonomi. Denna form av studier kan även utgöra ett viktigt komplement för såväl profession som beslutsfattare inom hälso- och sjukvården som strävar efter en kostnadseffektiv användning av läkemedel och minimerad sjukdomsbörda för patienter.

AstraZeneca bedriver samarbeten kring observationsstudier inom en rad olika sjukdomsområden. Det är viktigt att förstå hur våra behandlingar fungerar i den kliniska verkligheten. Dessa insikter bidrar som en viktig del i AstraZenecas utveckling av läkemedel och behandlingsstrategier.

Läkemedel följs i klinisk verklighet

Till skillnad från kontrollerade kliniska studier, använder sig observationsstudier av empiriska data såsom elektroniska vårdjournaler, sjukförsäkringsstatistik, patientregister och undersökningar där patienter och vårdgivare intervjuats. De kan beskriva hur ett läkemedel används och fungerar under verkliga omständigheter när det gäller effektivitet, säkerhet och kostnader. En observationsstudie kan till exempel användas för att utvärdera följsamhet till behandlingen, hur det hänger samman med behandlingens kliniska resultat, längden på sjukhusvistelser och antalet läkarbesök.

Viktiga data för att förbättra vården

Hälso- och sjukvården står inför många utmaningar, bland annat ekonomiska. Beslutsfattare efterfrågar därför i ökad utsträckning data från den kliniska verkligheten för att underbygga beslut som handlar om rekommendationer, prioriteringar och subvention av olika behandlingar. Data från observationsstudier är även värdefulla för att bedöma kliniska behov, utforma vårdplaner, värdera hur effektivt ett läkemedel är, eller vilket värde det har i den kliniska verkligheten.

Randomiserade kontrollerade kliniska studier utgör basen i den dokumentation mot vilken läkemedels säkerhet och effektivitet bedöms av myndigheter. Dock är dessa studier nästan alltid utformade på ett sätt som begränsar möjligheten att besvara frågor om hur läkemedlet fungerar i den kliniska verkligheten.

Ökad efterfrågan på observationsstudier

Intresset för data från observationsstudier (RWE-studier) ökar och det beror till viss del på det växande behovet av att visa ett läkemedels mervärde och effektivitet när det kommer till klinisk verklighet. Beslutsfattare inom hälso- och sjukvården arbetar idag mer fokuserat än någonsin för att försöka hålla nere kostnaderna och samtidigt förbättra vården av patienter. Resultaten från observationsstudier kan ge värdefulla insikter i hur behandlingar fungerar under verkliga omständigheter, utanför de ideala och kontrollerade förhållanden som råder i randomiserade kliniska studier..

Ett omfattande åtagande

I Europa samarbetar AstraZeneca med flera nationella och regionala myndigheter med ansvar för hälsa, som exempelvis National Health Service i Storbritannien. Sammanlagt har AstraZeneca omkring 100 pågående RWE-studier i Europa och USA. Dessa uppföljnings- och observationsstudier analyserar information och samlar in data från verkligheten genom en rad olika källor. Här ingår såväl förstudier, som tittar på befolknings och behandlingsdata för att stötta kliniska och icke-kliniska studiers omfattning och validitet, som formella observationsstudier och jämförande studier.

En stor del av dessa RWE-studier bedrivs inom stora sjukdomsområden som astma, KOL, hjärt-kärlsjukdomar och diabetes.

Pågående observationsstudier inom diabetes

Resultat från flera av AstraZeneca observationsstudier i samarbete med vården inom diabetes har presenterats på senare tid, bland annat från de tre studierna DAISY, Nordic DISCOVER och CVD-REAL.

1. DAISY studien inkluderar alla patienter med typ 2-diabetes behandlade med blodglukossänkande mediciner under åren 2006-2015 i Sverige. Syftet med studien är att beskriva sjukdomsprevalens, patientens sjukdomsbelastning, risker för komplikationer och behandlingsverklighet. Bakgrund till studien är att antalet patienter i Sverige som behandlas för typ 2-diabetes ökar och har nyligen rapporterats omfatta 4,4 procent av befolkningen (1).

DAISY studien har bland annat beräknat de samlade sjukdomskostnaderna för typ 2 diabetes under åren 2006-2014 i en sk cost-of-illness studie, den första i sitt slag.

Resultat som presenterades på EASD i september 2016 visade att sjukdomskostnaderna för behandling av patienter med typ 2-diabetes fördubblades i Sverige under denna period. De ökade sjukdomskostnaderna berodde främst på ökade kostnader för sluten- och öppenvård samtidigt som kostnaderna för diabetesläkemedel genomgående under perioden endast representerar fyra procent (2).

2. Nordic DISCOVER, är en annan nordisk observationsstudie som beskriver och jämför vården av patienter med typ 2-diabetes i primärvården i Danmark, Norge och Sverige med hjälp av patientdata från elektroniska journaler. Resultat presenterades på EASD 2016 och visar att det finns stora skillnader mellan länderna i behandlingsstrategi och -resultat av typ 2-diabetes. Förklaringen kan ligga i olika behandlingsrekommendationer och målrelaterade incentiv i de olika länderna (3, 4, 5, 6 ,7). Studien visar även att genomsnittsvärden för glukos och kardiovaskulär riskbehandling har stagnerat i Sverige och Norge de senaste tio åren, men att Danmark fortfarande upplever en långsam förbättring (8).

3. CVD-REAL är namnet på en internationell observationsstudie vars syfte är att utvärdera risken för sjukhusinläggning på grund av hjärtsvikt respektive dödsfall, oavsett orsak, hos patienter med typ-2 diabetes som behandlas med en modernare grupp av diabetesläkemedel, så kallade SGLT-2-hämmare (SGLT-2i). CVD-REAL den första stora internationella observationsstudien i sitt slag och omfattar över 300 000 patienter.

Vid American College of Cardiology 66th Annual Scientific Session den 19 mars 2017 presenterades de första av flera analyser från CVD-REAL. Resultaten visade att risken för en sjukhusinläggning på grund av hjärtsvikt och/eller död minskade för gruppen av typ 2-diabetes patienter som fått SGLT-2-hämmare jämfört med de patienter som fått andra glukossänkade läkemedel (9). Analysen har validerats av den oberoende akademiska statistikgruppen vid St. Luke's Mid America Heart Institute, Kansas City, USA.

Insamlingen av ytterligare observationella data pågår och framtida analyser kommer även inkludera data från flera länder. Alla data som användes för studien har samlats in från avidentifierade källor såsom patientjournaler, försäkringsdatabaser och nationella register.

Referenser

1. Norhammar A et al, Incidence, prevalence and mortality of type 2 diabetes requiring glucose lowering treatment, and associated risks of cardiovascular complications: a nationwide study in Sweden, 2006-2013. Diabetologia, 2016. 59(8): p. 1692-701.

2. Doubled healthcare costs of type 2 diabetes mellitus during 2006-2014: a nationwide cost-of-illness study in Sweden. EASD 2016, Abstract #68. <http://www.easdvirtualmeeting.org/resources/doubled-healthcare-costs-of-type-2-diabetes-mellitus-during-years-2006-2014-a-nationwide-cost-of-illness-study-in-sweden>

3. Socialstyrelsen, Sverige: http://www.socialstyrelsen.se/nationellariktlinjerfordiabetesvard

4. Läkemedelsverkets Behandlingsriktlinjer (2010): https://lakemedelsverket.se/malgrupp/Halso---sjukvard/Behandlings--rekommendationer/Behandlingsrekommendation---listan/Diabetes/

5. Sundhetsstyrelsen, Danmark: https://sundhedsstyrelsen.dk/da/sygdom-og-behandling/kronisk-sygdom/diabetes

6. Dansk Endokrinologisk Selskab: http://www.endocrinology.dk/index.php/des2/nyheder/551-reviderede-guidelines-for-farmakologisk-behandling-af-type-2-diabetes-mellitus

7. Riktlinjer Norge: <https://helsedirektoratet.no/diabetes>

8. Birkeland et al, EASD Congress 2016 (Oral presentation, Number 119, 14 Sept 02:30 PM), Munich, Germany, Primary care management of type 2 diabetes patients in Denmark, Norway and Sweden - a long term observational study: http://www.easdvirtualmeeting.org/resources/hba1c-and-second-line-glucose-lowering-drug-initiation-in-denmark-norway-and-sweden-an-observational-study-comparing-type-2-diabetes-mellitus-management-in-primary-care

9. Kosiborod M et al, Lower risk of heart failure and death in patients initiated on SGLT-2 inhibitors versus other glucose-lowering drugs: The CVD-REAL Study.

Circulation. 2017, http://circ.ahajournals.org/content/early/2017/05/16/CIRCULATIONAHA.117.029190

För mer information kontakta

Petra Eurenius, kommunikationschef AstraZeneca Nordic-Baltic, petra.eurenius@astrazeneca.com, mobil 0709-18 65 62

Detta är ett faktamaterial för media framtaget av AstraZeneca Nordic-Baltic, 151 85 Södertälje, [www.astrazeneca.se](http://www.astrazeneca.se)