

DANSKE KRÆFTFORSKNINGSDAGE 2025

Betydningen af mindre datapopulationer for fremtidens forskning

#DKD2025
#SamarbejdeOmKræft

1

Slido
#131525

Profil af hæmatologien i DK

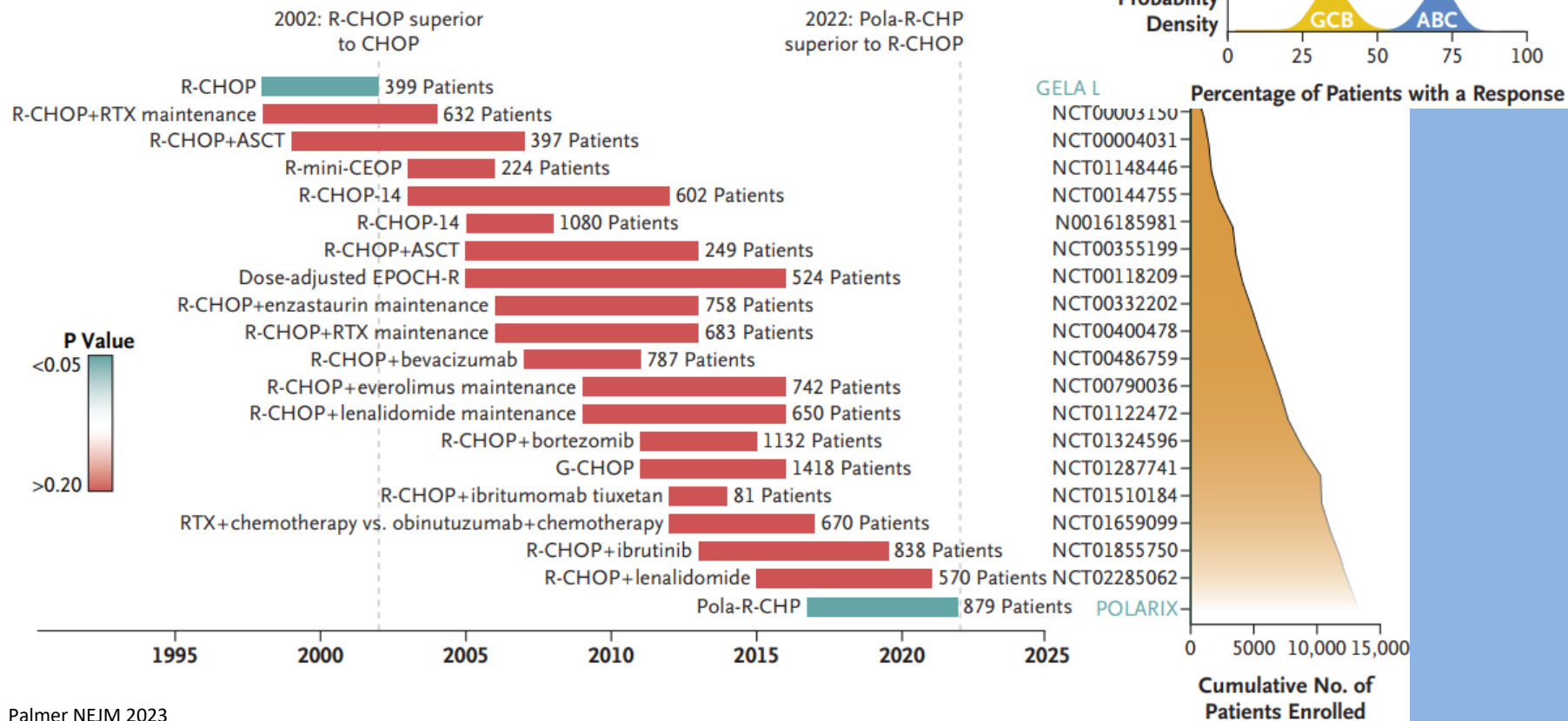
- 4300 nyt pt/år med malign hæmatologisk sygdom.
- 1600 Lymfomer
- 400 MDS - Myelodysplasi
- 600 MM – Myelomatose
- 700 MPN - Myeloproliferative neoplasier
- 500 CLL – Kronisk lymfatisk leukæmi
- 300 AML – Akut leukæmi
- 50 "Diverse"

Behandlingskrævende pt./år

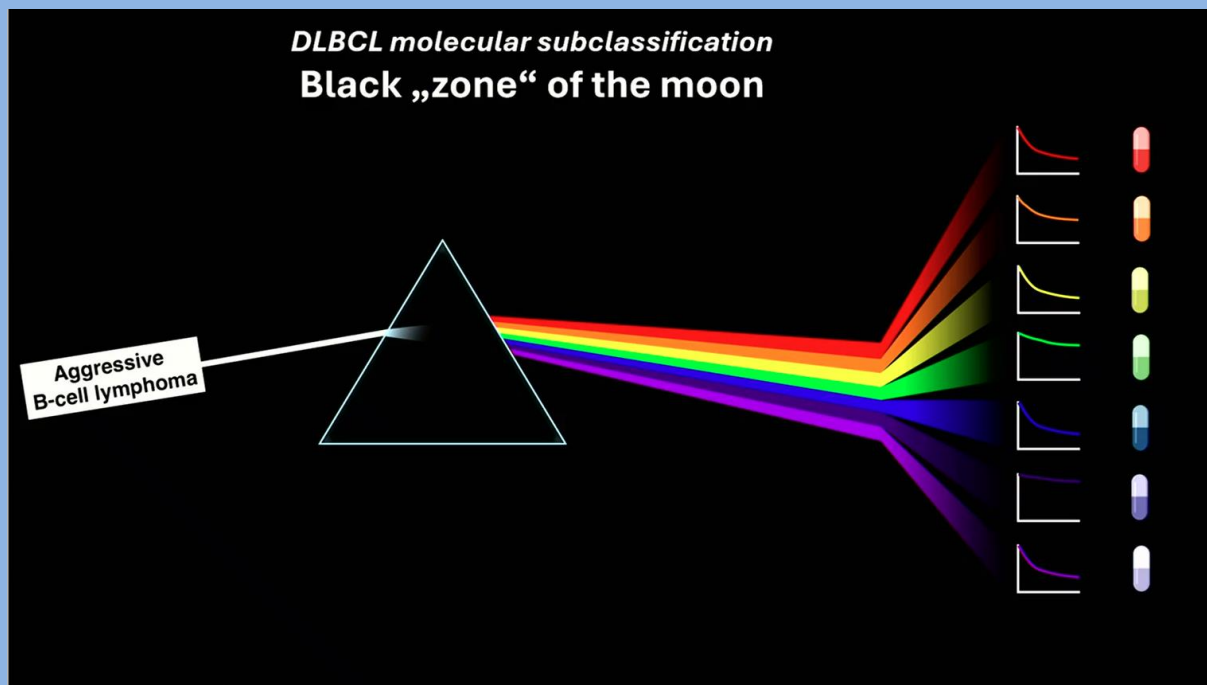
- 3200 behl krævende pt/år
- ~~1600~~ 1400 Lymfomer – mange undertyper
- 400 MDS - Myelodysplasi
- ~~600~~ 400 MM – Myelomatose
- ~~700~~ 500 MPN - Myeloproliferative neoplasier
- ~~500~~ 150 CLL – Kronisk lymfatisk leukæmi
- 300 AML – Akut leukæmi
- 50 "Diverse"

Diffust storcellet B-celle lymfom

A Randomized, Controlled Trials for Previously Untreated DLBCL



Ny genomisk klassifikation: 7 typer DLBCL



Biomarker-guided Targeted Therapy in DLBCL – R-CHOP+X (Guidance-01)

Newly Diagnosed DLBCL

• 18-80 years • IPI ≥ 2

Tumor Biopsy

Simplified 20-gene Algorithm

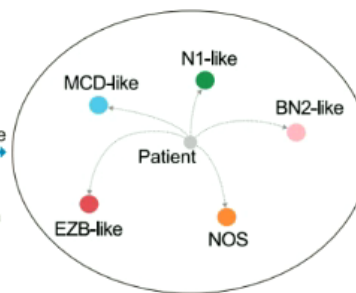
Gene Mutation Gene Re-arrangement

MYD88 CD79B
PIM1 MPEP1
BTG1 TBL1XR1
CD70 DTX1
TNFAIP3 NOTCH2
NOTCH1 EZH2
EP300 STAT6
CREBBP MTOR
TNFRSF14 TP53

BCL2
BCL6

TP53 Wild-type
TP53 Mutation
Output (TP53 Mutation)
● TP53^{mut}

Genetic Subtyping



Zhang cancer cell
2023

Output (TP53 Wild-type)
● MCD-like
● BN2-like
● N1-like
● EZB-like
● NOS

Treatment Procedure



N=128

R-CHOP × 1 cycle

Genetic Subtyping



MCD-like
1:1

BN2-like
1:1

N1-like
1:1

EZB-like
1:1

TP53^{mut}
1:1

NOS
1:1



R-CHOP + Ibrutinib

R-CHOP

× 5 cycles

R-CHOP + Ibrutinib

R-CHOP

× 5 cycles

R-CHOP + Lenalidomide

R-CHOP

× 5 cycles

R-CHOP + Tucidinostat

R-CHOP

× 5 cycles

R-CHOP + Decitabine

R-CHOP

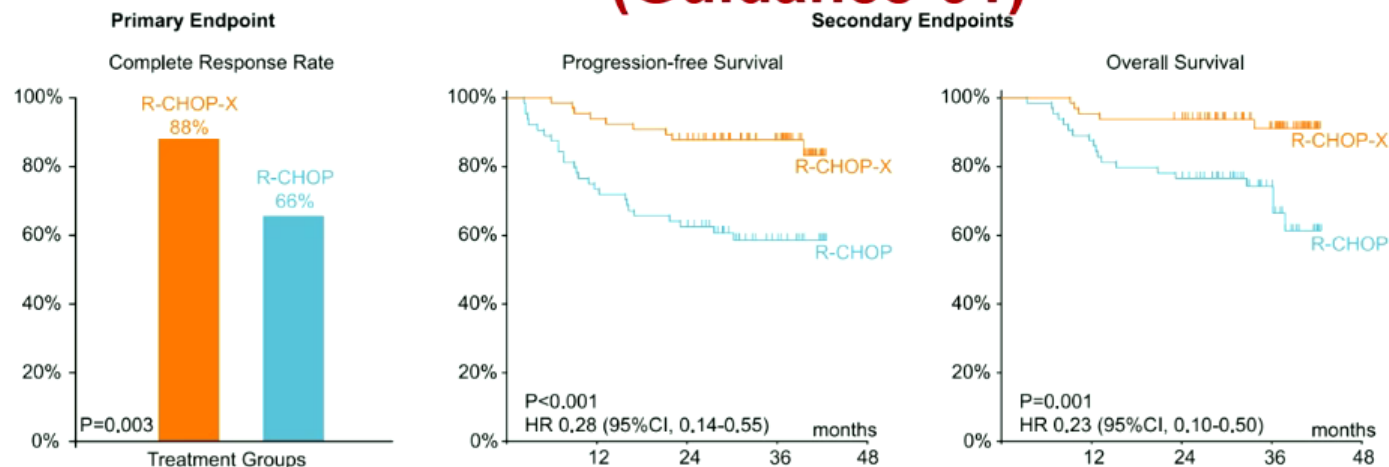
× 5 cycles

R-CHOP + Lenalidomide

R-CHOP

× 5 cycles

Biomarker-guided Targeted Therapy in DLBCL – R-CHOP+X (Guidance-01)



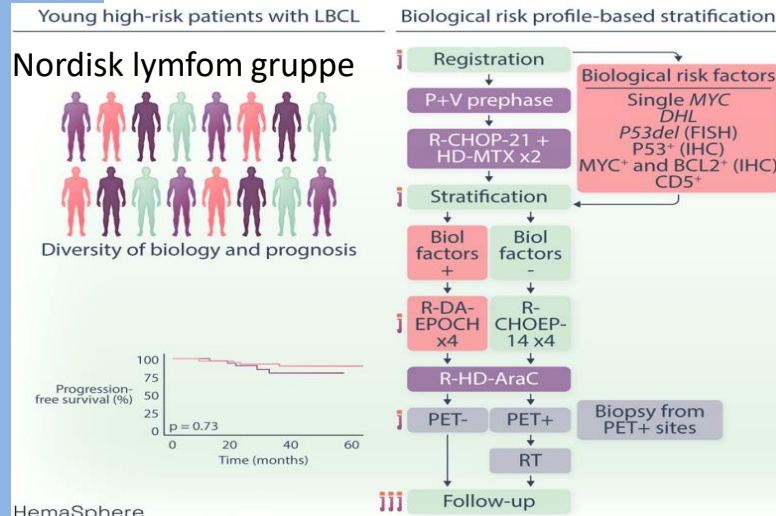
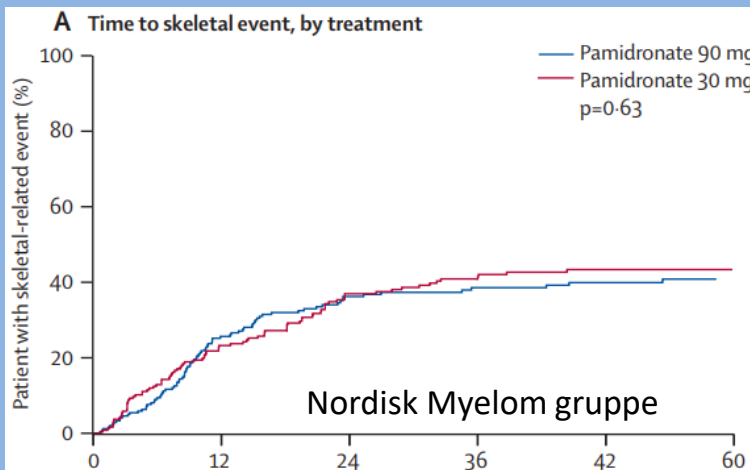
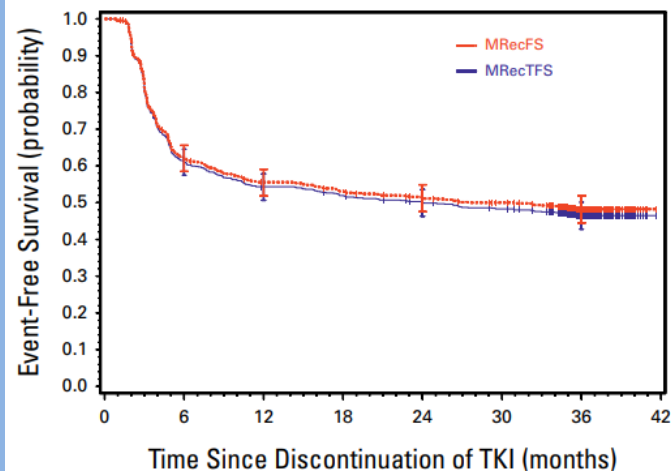
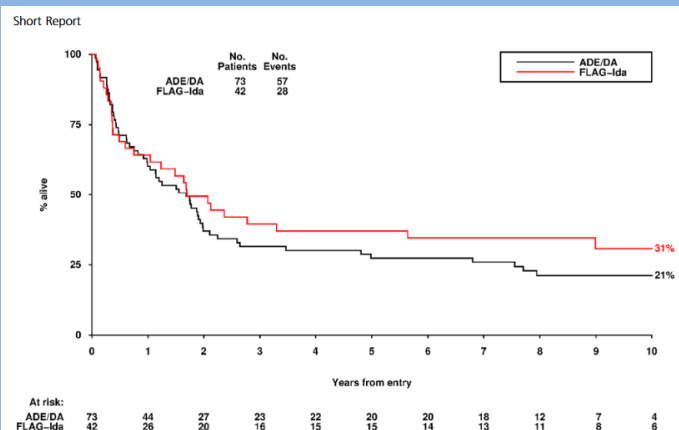
Life-science – lavere hyppighed = færre kommercielle protokoltilbud

- Når der ikke er noget stort markedspotentiale, risikerer udviklingen at gå uden om sygdomsområder med sjældne sygdomme, fordi det ikke er muligt at opnå hurtigere resultater eller markedsgodkendelse
- Det kræver offentlige investeringer i løsninger til de områder, der ikke prioriteres af industrien. Hvis ikke det sker, risikerer strategien at øge uligheden mellem sygdomsområder og patienter.

Hvad er status i 2025 (RH)

- Færre tilbud – Medicinrådets afvisninger har negativ indflydelse på protokoltilbud – CTIS gør det ikke bedre.
- I KFE er der pt. 43 protokoller åben for inklusion.
- 30 protokoller sponsoreret af life-science industrien
- 13 Investigator initierede protokoller

AML-15 – i samarbejde med MRC (UK)



Samarbejds”Partnere”udover Nordiske

- **MRC – UK**
- **TYSKE CLL og lymfomgrupper**
- **HOVON**
- **EORTC**
- **LYSA**
- **SAKK**
- **SU2C – Stand-up-to-cancer**
- **Australske Lymfomgruppe.**
- **Fællestræk: Solid organisation med fast finansiering**

Hvad er udfordringerne?

- Hæmatologi har de største medicinbudgetter - er et "dyrt" speciale
- De sidste 10-15 år kommet mange nye behandlinger, herunder CAR-T, og genterapi
- Mange kroniske sygdomme
- Ny medicin er ofte behandling til progression
- Små populationer medfører færre fase III protokoller

Udfordringerne ved Investigator initierede trials

- Krævende opstarts proces – CTIS
- Få/færre muligheder for fonds financiering
- Ringe økonomi til behl afdelinger
- Sponsoropgaverne er store, kræver ekspertise og fast personale
- Hospitals administratorer kræver merudgifter dækket

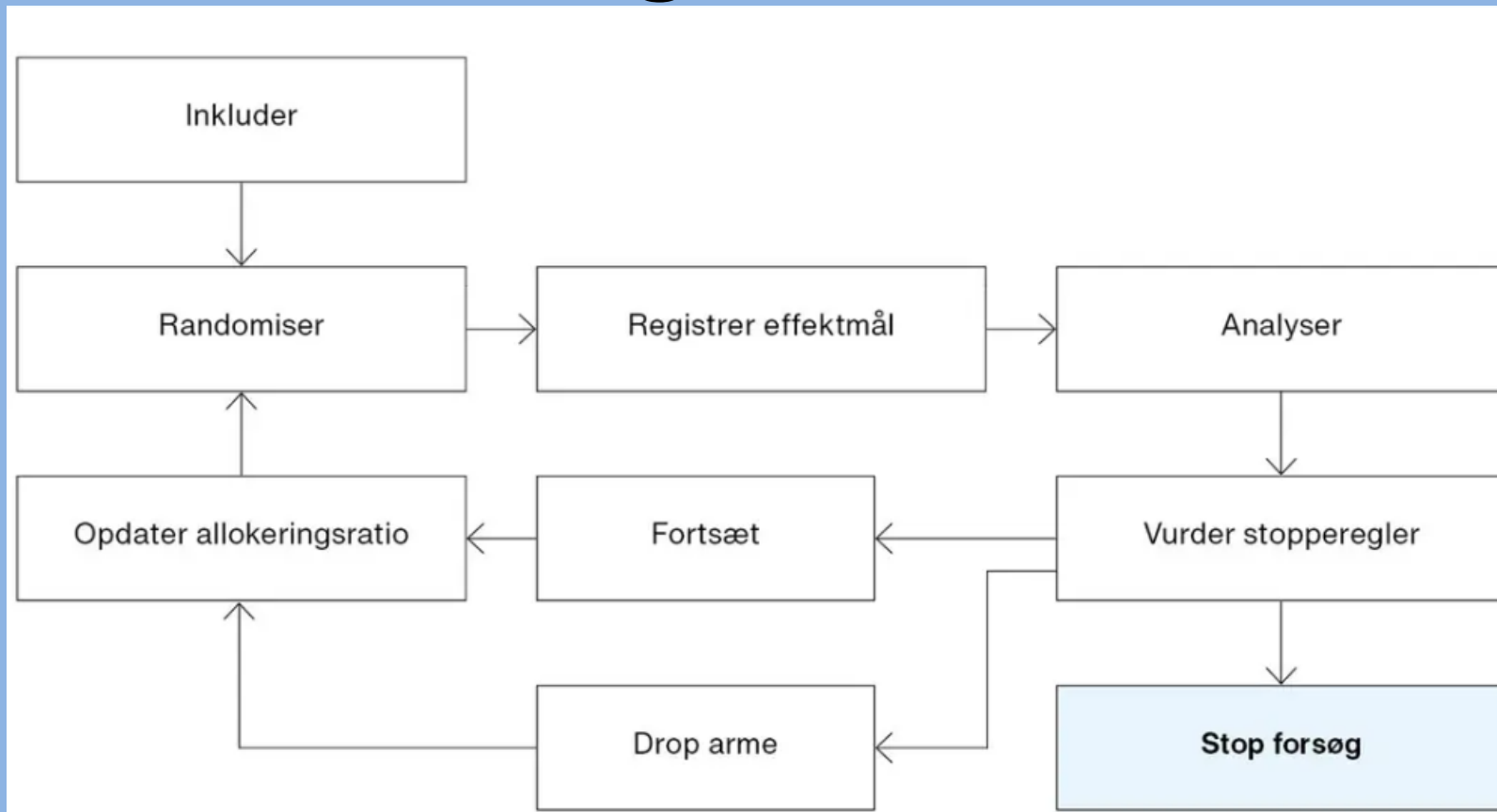
Udfordringer (fortsat)

- **Hvordan skal vi drive protokoldrift i fremtiden uden**
 - Økonomi til ekstra blodprøver/scanninger/medicin
 - Midler til struktur - sponsoropgaverne
 - Finansiering af KFE personalet
 - Monitorering – 100 gratis timer rækker sjældent
 - ??
- **Det er ikke længere muligt at drive investigator initierede trials uden betydelig økonomisk støtte.**

Hvorfra skal pengene komme fra?

- Sparede medicinudgifter ved protokoldeltagelse skal kanaliseres tilbage til at finansiere investigator initierede trials
- I 2024 medførte protokoldeltagelse i firma initierede trials en besparelse på medicinbudgetter på 24,5 mio DKr på RH-Hæm afdeling.
- Region Sjælland har vist vejen ved at kanalisere midler tilbage til kliniske og parakliniske afdelinger

Platformsforsøg – en alternativ vej



Konklusion

- Mindre diagnosegrupper → færre trial tilbud/muligheder
- Internationalt samarbejde nødvendigt for at opnår tilstrækkelig stor population
- De store medicinbesparelser for patienter i sponsorinitierede trials bør kanaliseres retur til klinikerne, som så kan søge om støtte til "egne" trials
- Platformsmodellen kan facilitere afdelinger og specialer, der ønsker at køre flere trials indenfor samme rammeaftale