

# **Участие пациентов – родительский проект по миодистрофии Дюшенна**

## **Введение**

Разработка метода лечения/излечения миодистрофии Дюшенна в рамках родительского проекта по миодистрофии Дюшенна совместно с Лейденским университетом, компаниями Prosensa (партнером по биотехнологиям) и GSK.

## **Описание проекта**

Разработка метода лечения/излечения мышечной дистрофии Дюшенна.

Родительский проект по миодистрофии Дюшенна привлекался к работе по различным аспектам данного проекта, включая:

- Финансирование исследования в университете (Лейден) и биотехнологической компании (Prosensa).
- Финансирование исследования фазы Ib (местная инъекция).
- Участие в наборе и регистрации пациентов для катамнестических исследований.
- Участие в разработке стандартов медицинской помощи (необходимых для клинических исследований).
- Участие в разработке критериев эффективности.
- Предоставление информации семьям и пациентам.
- Переговоры с регуляторными органами.

# **Категория(и) пациентов (защитников прав пациентов), принявших участие в проекте**

- Пациенты/родители, которые имеют собственный опыт, связанный с болезнью.
- Компетентный пациент/защитник прав пациентов, обладающий специальными знаниями о заболевании и имеющий значительный опыт в области исследования и разработки лекарственных препаратов.

## **Преимущества участия пациентов**

Родительский проект по миодистрофии Дюшенна (DPP) был частью инициативы с самого первого дня реализации проекта. Без DPP исследовательский проект и последующее наблюдение, вероятно, так никогда бы и не начались.

В итоге должна быть доказана «клиническая значимость» лекарственных препаратов для пациентов, поэтому разработку лекарственных препаратов логично начинать с пациентов (подход «от пациента к исследованию»).

Пациенты являются движущей силой, ускоряющей проведение исследования и переход от лабораторного этапа к оценке препарата у пациента (подход «от исследования к пациенту»).

## **Сложности и препятствия**

Сотрудничать с биотехнологической компанией было просто. Однако, когда первый препарат был перекуплен крупной фармацевтической компанией GSK, сотрудничать (например, обсуждать дизайн исследования, критерии эффективности, набор пациентов и другие моменты) стало очень трудно, поскольку крупная фармацевтическая компания имеет строгие правила, запрещающие взаимодействие с пациентами до выхода препарата на

рынок. Компании должны проектировать дизайн исследований для полного спектра пациентов, а не только для небольшой популяции больных, поскольку в итоге, когда препарат выходит на рынок, существует большая вероятность его утверждения только для этой небольшой популяции.

Регуляторные органы имеют очень ограниченные знания об этом заболевании.

## **Выводы**

Оглядываясь в прошлое, следует заметить, что сбор данных о естественном течении болезни нужно было начать значительно раньше. Когда вашей целью является выздоровление, тема сбора данных о естественном течении болезни для вас не очень интересна; однако эта работа действительно может ускорить процесс разработки лекарственного препарата, а также уменьшить размер группы плацебо. Если данные о естественном течении болезни собираются ассоциациями пациентов (и находятся в их собственности), эти данные могут использовать различные компании.

Убедитесь в наличии критериев эффективности для всех групп пациентов. Мы запустили и финансируем проекты по разработке этих критериев эффективности.

Повышение осведомленности регуляторных органов о Вашем заболевании и предпочтениях пациентов.

A3-DPP-V1.0

## **Приложения**