

# Doentes envolvidos – DevelopAKUre para a AKU

## Introdução

Um exemplo de parceria público-privada de diversos grupos internacionais da indústria (Sobi), organizações de doentes (AKU Society e ALCAP), hospitais (Royal Liverpool, Hospital Necker e National Institute of Rheumatic Diseases), Academia (Universities of Liverpool and Siena, Institute of Molecular Physiology and Genetics) e pequenas e médias empresas –PME– (Nordic Bioscience, PSR e Cudos) para curar a alcaptonúria (AKU).

## Descrição do caso

DevelopAKUre é uma série de três estudos clínicos, financiado pelo programa FP7 da Comissão Europeia. Vão investigar o medicamento nitisinona para encontrar evidências se funciona no tratamento da alcaptonúria (AKU). O projeto envolve um estudo de dose-resposta (SONIA1), um estudo de eficácia (SONIA2) para comparar o não tratamento com o tratamento e um estudo cruzado (SOFIA) para determinar a melhor idade para iniciar o tratamento. Os estudos decorrem em três centros na Europa (Reino Unido, França e Eslováquia).

DevelopAKUre é liderado pelos doentes, com a AKU Society como parceiro líder, garantindo que os pontos de vista dos doentes foram tidos em consideração nas fases de planeamento e ao longo dos estudos em curso. A AKU Society lidera agora o recrutamento e o apoio dos doentes, desenvolvendo documentos de informação para os doentes e promovendo a retenção dos doentes. A AKU Society obteve fundos adicionais através de uma campanha de crowdfunding hospedada no Indiegogo de modo a

conseguir fornecer cuidados/tratamento de alto nível aos doentes em todo o DevelopAKUre.

A AKU Society está também a coordenar a divulgação do projeto, garantindo que as atividades do projeto são partilhadas com os doentes e o público.

Mais informações em <https://akusociety.org/aku-clinical-trials/>

## **Tipo(s) de representante(s) dos doentes envolvidos**

- Doentes com experiência pessoal da doença.
- Doentes especialistas / representantes de doentes com bons conhecimentos sobre a doença, mas pouca experiência em I&D.
- Doentes especialistas / representantes de doentes com bons conhecimentos sobre a doença e boa experiência em I&D.

## **Benefícios do envolvimento dos doentes**

O DevelopAKUre é único: um ensaio clínico verdadeiramente liderado pelos doentes. Acreditamos que pode criar um novo paradigma na investigação médica, ajudando a promover o envolvimento dos doentes no planeamento e execução de ensaios clínicos e introduzindo a ideia de envolver grupos de doentes como parceiros ativos que podem ajudar em tarefas como o recrutamento e retenção de doentes.

O envolvimento de grupos de doentes no planeamento dos ensaios clínicos melhorou a experiência dos doentes desde a defesa de um processo mais simplificado de reembolso das despesas e financiamento das viagens dos prestadores de cuidados até

tornar opcional a realização de testes invasivos e reduzir o número de visitas aos centros dos ensaios.

## **Desafios e obstáculos**

1. **Financiamento:** Passamos vários anos a tentar angariar fundos para a investigação clínica. Candidatámo-nos e obtivemos um financiamento de 6 milhões de Euros da Comissão Europeia. Uma vez que a investigação médica é tão cara, achamos improvável que os organismos nacionais pudessem conceder financiamentos de projetos suficientemente grandes para a investigação em doenças raras.
2. **Legais / éticas:** A AKU Society está a trabalhar nas informações para os doentes, o que exige aconselhamento profissional sobre questões legais e éticas. Contamos com outros parceiros (PSR) e comissões de revisão para esta contribuição.
3. **Língua:** O maior obstáculo para o recrutamento de doentes na Europa tem sido as questões linguísticas. As traduções adicionaram um custo significativo à produção das informações para os doentes.
4. **Questões regulamentares:** Resolvidas através de pareceres externos principalmente das nossas pequenas e médias empresas parceiras, e de pareceres científicos da EMA.

## **Aprendizagem**

Esperamos ver mais investigação liderada pelos doentes, nas quais os doentes estejam envolvidos no planeamento e execução dos estudos e os grupos de doentes tenham um papel ativo. Para nós, os grupos de doentes são os mais envolvidos na compreensão de como a doença afeta os doentes e, como tal, são uma boa escolha como parceiros da investigação. É necessária formação adicional (como por exemplo da EUPATI) sobre como trabalhar com a indústria farmacêutica e as universidades,

sobre o processo de desenvolvimento de medicamentos e sobre os requisitos éticos / legais dos ensaios. Muitos grupos de doentes precisam de incentivo para mostrar que a sua contribuição é valorizada e importante para a investigação médica.

A3-DevelopAKUre-V1.0

## **Anexos**