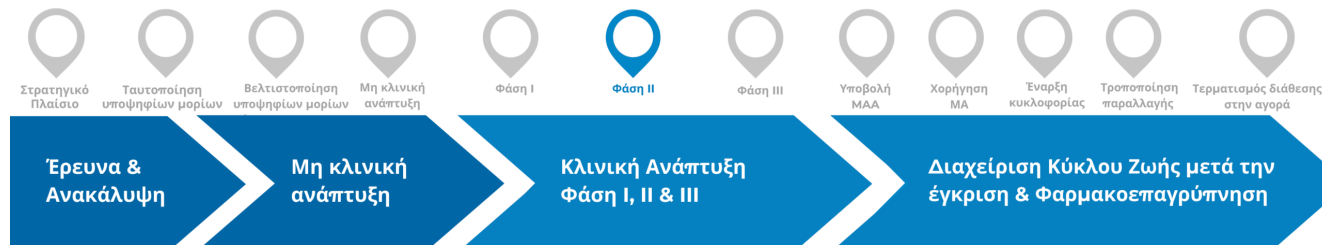


Συμμετέχοντες ασθενείς – Ανατροφοδότηση από τους ασθενείς σε μια παιδιατρική μελέτη χρόνιας μυελοειδούς λευχαιμίας (ΧΜΛ)

Εισαγωγή

Συνεργασία του CML Advocates Network / Leukaemia Patient Advocates Foundation με μια μεγάλη φαρμακευτική εταιρεία σχετικά με τη χρήση ενός φαρμάκου σε δοκιμές φάσης III (χρήση σε ενήλικες), με στόχο τη χρήση του σε παιδιατρικό πληθυσμό.



Πότε συμμετέχουν οι ασθενείς; – Φάση II

Περιγραφή της υπόθεσης

Μια μεγάλη φαρμακευτική εταιρεία προετοίμασε μια συνδυασμένη μελέτη φάσης I/II για τη φαρμακοκινητική, την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα ενός νέου στοχευμένου φαρμάκου σε παιδιατρικούς ασθενείς με χρόνια μυελογενή λευχαιμία (ΧΜΛ) με ανοχή ή δυσανεξία σε άλλα φάρμακα. Μέχρι τη στιγμή του σχεδιασμού αυτού του πρωτοκόλλου, το φάρμακο βρισκόταν σε δοκιμές φάσης III με στόχο την έγκριση για χρήση σε ενήλικες.

Η παιδιατρική ΧΜΛ είναι μια εξαιρετικά σπάνια πάθηση που προσβάλλει μόνο περίπου 20 παιδιά ετησίως σε πληθυσμό 80 εκατομμυρίων. Σχεδόν κανένα μεγαλύτερο παιδιατρικό κέντρο δεν έχει περισσότερους από 1 έως 2 παιδιατρικούς ασθενείς με ΧΜΛ. Ως εκ τούτου, η εξεύρεση συμμετεχόντων σε δοκιμές είναι δύσκολη. Μέχρι τη στιγμή ελέγχου του πρωτοκόλλου, είχαν εγκριθεί άλλα δύο φάρμακα για παιδιατρική χρήση.

Το τμήμα σχέσεων με τους ασθενείς κανόνισε μια δίωρη συνάντηση μεταξύ:

- Ενός έμπειρου ασθενή/συνηγόρου ασθενών με προσωπική εμπειρία από τη νόσο, καθώς και με εμπειρία συνηγορίας στην έρευνα κι ανάπτυξη φαρμάκων για την ΧΜΛ, και
- του προσωπικού κλινικής ανάπτυξης που συμμετείχε στον σχεδιασμό του πρωτοκόλλου.

Η σύνοψη της δοκιμής (16 σελίδες) κοινοποιήθηκε στον συνήγορο του ασθενούς 14 ημέρες πριν από τη συνάντηση, υποκείμενη σε συμφωνία εμπιστευτικότητας. Τα γραπτά σχόλια του συνηγόρου υποβλήθηκαν από τον συνήγορο ασθενών στην κλινική ανάπτυξη δύο ημέρες πριν από τη συνάντηση και, στη συνέχεια, συζητήθηκαν δια ζώσης.

Η ανατροφοδότηση που παρείχε ο συνήγορος ασθενών επικεντρωνόταν στα κριτήρια ένταξης/αποκλεισμού (π.χ. περιττός αποκλεισμός παιδιών <<10 ετών, απαιτούμενη ικανότητα κατάποσης χαπιών παρά τη διαλυτότητα του φαρμάκου), στην πρόσβαση στο φάρμακο μετά την ολοκλήρωση της μελέτης, στα διαγνωστικά μέσα (π.χ. αναγκαιότητα αρκετά επεμβατικών βιοψιών μυελού των οστών), στη δοσολογία (π.χ. αριθμός χαπιών που χορηγούνται για παιδιατρική χρήση έναντι δυσκολιών στην παιδιατρική εισαγωγή) και στη συμμετοχή των γονέων στην κατάρτιση εγγράφων συναίνεσης/συγκατάθεσης μετά από ενημέρωση.

Τύποι συμμετεχόντων ασθενών (ή συνηγόρων ασθενών)

- Ασθενείς με προσωπική εμπειρία νόσου.
- Επειρογνώμονας ασθενής/συνήγορος ασθενών με καλή εμπειρογνωμοσύνη στην ασθένεια και καλή εμπειρία στην έρευνα και ανάπτυξη.

Οφέλη από τη συμμετοχή των ασθενών

Σύμφωνα με την άμεση ανατροφοδότηση της ομάδας κλινικής ανάπτυξης κατά την ολοκλήρωση της συνάντησης, καθώς και με την ανατροφοδότηση που έλαβε το τμήμα σχέσεων με τους ασθενείς λίγες ημέρες αργότερα, οι πληροφορίες που ελήφθησαν θεωρήθηκαν «ανεκτίμητες» και οδήγησαν σε σημαντική τροποποίηση του πρωτοκόλλου της δοκιμής.

Η διαδικασία ανάπτυξης δεν καθυστέρησε λόγω της συμμετοχής ασθενών, καθώς η διαβούλευση ενσωματώθηκε στη διαδικασία ανάπτυξης του πρωτοκόλλου. Σοβαρά ζητήματα που θα μπορούσαν να απειλήσουν την εξεύρεση συμμετεχόντων, τη διατήρηση των δοκιμών ή τη δεοντολογία αποκαλύφθηκαν στο στάδιο του σχεδιασμού και επιλύθηκαν πριν από την υποβολή του πρωτοκόλλου στις αρχές.

Δεδομένου ότι η ομάδα κλινικής ανάπτυξης είχε προηγουμένως εκτεθεί ελάχιστα σε πραγματικούς (ενήλικες) ασθενείς με ΧΜΛ και δεν είχε προηγούμενη εμπειρία με παιδιατρικούς ασθενείς με ΧΜΛ ή τους γονείς τους, είχαν ανακύψει ορισμένα ζητήματα που, σύμφωνα με την εκτίμησή μας, θα εμπόδιζαν τους γονείς να εγγράψουν τα παιδιά τους στις εν λόγω δοκιμές, ή θα μπορούσαν να προκαλέσουν σοβαρά ποσοστά εγκατάλειψης της δοκιμής. Σύμφωνα με την κλινική ανάπτυξη, μεγάλο μέρος της ανατροφοδότησης «κάλυπτε θέματα που θα έπρεπε πραγματικά να τα είχαμε σκεφτεί, αλλά δεν είχαν προκύψει σε συζητήσεις τόσο εντός της ομάδας όσο και με τους ερευνητές πριν από τη

συνάντηση».

Προκλήσεις και εμπόδια

- Αντιληπτά νομικά εμπόδια για τη δημοσιοποίηση της σύνοψης της δοκιμής και του πρωτοκόλλου (επιλύθηκαν με την επιμονή του τμήματος σχέσεων με τους ασθενείς για την κατάρτιση συμφωνίας εμπιστευτικότητας).
- Αντίσταση της ομάδας κλινικής ανάπτυξης να εμπλέξει τους ασθενείς και να συμφωνήσει σε μια προσωπική συνάντηση με τους συνηγόρους ασθενών, κυρίως λόγω της έλλειψης αντιληπτής αξίας (οι αντιλήψεις αυτές άλλαξαν εντελώς ως αποτέλεσμα αυτής της συνάντησης).

Διδάγματα

Αυτό είναι ένα καλό παράδειγμα μιας αλλαγής νοοτροπίας που επιτεύχθηκε μέσα από μια σύντομη, συνοπτική και καλά προετοιμασμένη συνάντηση μεταξύ της ομάδας κλινικής ανάπτυξης και ενός έμπειρου συνηγόρου ασθενών, η οποία κινήθηκε, επιβλήθηκε και έγινε δυνατή από τον υπεύθυνο σχέσεων με τους ασθενείς.

A3-Patient-feedback-on-a-paediatric-CML-study-V1.0

Συνημμένα

- Αναφορά περίπτωσης συμμετεχόντων ασθενών – Ανατροφοδότηση ασθενών σε μια παιδιατρική μελέτη ΧΜΛ

Μέγεθος: 489,432 bytes, Μορφή: .pdf

Αναφορά περίπτωσης συμμετεχόντων ασθενών για μια συνεργασία του CML Advocates Network / Leukaemia Patient Advocates Foundation με μια μεγάλη φαρμακευτική εταιρεία σχετικά με τη χρήση ενός φαρμάκου σε δοκιμές φάσης III (χρήση σε ενήλικες), με στόχο τη χρήση του σε

παιδιατρικό πληθυσμό.