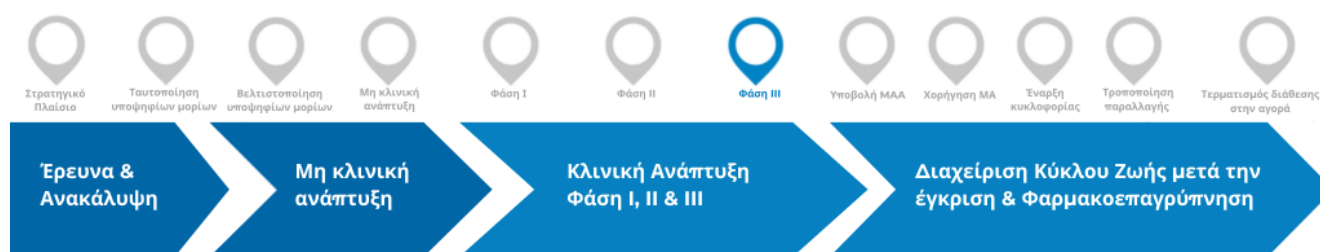


Συμμετέχοντες ασθενείς – Δοκιμές DUET φάσης III για τον HIV

Εισαγωγή

Μια αναφορά περίπτωσης ασθενών που συμμετείχαν σε δοκιμές DUET φάσης III για τον HIV για ένα νέο θεραπευτικό σχήμα που χρησιμοποιεί έναν συνδυασμό δύο υπό διερεύνηση ενώσεων: TMC125 (ετραβιρίνη) και TMC114 (δαρουναβίρη). Διαβούλευση μεταξύ της επιτροπής AIDS Treatment Activists Coalition Drug Development Committee (ΗΠΑ), της Συμβουλευτικής Επιτροπής της Ευρωπαϊκής Κοινότητας της Ευρωπαϊκής Ομάδας Θεραπείας του AIDS (ECAB EATG) και της φαρμακευτικής εταιρείας Tibotec (νυν Janssen Therapeutics).



Πότε συμμετέχουν οι ασθενείς; – Φάση III

Περιγραφή της υπόθεσης

Η φαρμακευτική εταιρεία Tibotec (νυν Janssen Therapeutics) σχεδίασε τις μελέτες DUET 1 και 2 το 2005. Οι δοκιμές DUET φάσης III αφορούσαν την ταυτόχρονη χρήση της ένωσης TMC125 (ετραβιρίνη) και της TMC114 (δαρουναβίρη) σε πληθυσμό με εμπειρία στη θεραπεία για τον HIV. Το μοναδικό χαρακτηριστικό της δοκιμής ήταν ότι και οι δύο ενώσεις που χρησιμοποιήθηκαν δεν είχαν λάβει άδεια κυκλοφορίας κατά τη στιγμή της χρήσης

(2006). Αυτή ήταν η πρώτη φορά που δύο μη εγκεκριμένες ενώσεις χρησιμοποιήθηκαν σε μια δοκιμή σε ένα περιβάλλον με προηγούμενη εμπειρία στη θεραπεία, αν και μόνο στο ένα σκέλος, ενώ το άλλο σκέλος της δοκιμής παρέμεινε ελεγχόμενο με εικονικό φάρμακο.

Η λοίμωξη από τον ιό HIV είναι μια προς το παρόν ανίατη αλλά διαχειρίσιμη ασθένεια που απαιτεί ένα σχετικά αυστηρό σχήμα αντιρετροϊκής φαρμακευτικής αγωγής (ART) για τους ασθενείς, προκειμένου να αποφευχθεί η ανάπτυξη αντοχής. Η αντοχή σε ορισμένα φάρμακα ή κατηγορίες φαρμάκων είναι πιο συχνή σε ασθενείς με εμπειρία στη θεραπεία, οι οποίοι χρειάζονται, κατά συνέπεια, νέα ή πιο σύνθετα σχήματα για τον έλεγχο της αναπαραγωγής του ιού στον οργανισμό.

Η κοινότητα των ασθενών διαδραμάτισε καθοριστικό ρόλο στο να επιτευχθεί ότι, για πρώτη φορά, μια δοκιμή περιελάμβανε την ταυτόχρονη χρήση δύο μη καταχωρισμένων ενώσεων. Η τυπική διαδικασία προβλέπει τη χρήση μίας νέας ένωσης μόνο σε μια δοκιμή.

Στόχος αυτής της παρέμβασης από την κοινότητα των ασθενών ήταν να διασφαλιστεί ότι ένας ισχυρός νέος συνδυασμός αντιρετροϊκής αγωγής είναι διαθέσιμος ως θεραπεία διάσωσης για ασθενείς με μεγάλη εμπειρία στη θεραπεία. Υποστηρίχθηκε η παρηγορητική χρήση του νέου θεραπευτικού σχήματος μέσω της δοκιμής.

Τύποι συμμετεχόντων ασθενών (ή συνηγόρων ασθενών)

- Ασθενείς με προσωπική εμπειρία νόσου.
- Εμπειρογνώμονες ασθενείς/συνήγοροι ασθενών με καλή εμπειρογνωμοσύνη επί της νόσου, αλλά με μικρή εμπειρία σε θέματα έρευνας και ανάπτυξης.
- Εμπειρογνώμονες ασθενείς/συνήγοροι ασθενών με καλή εμπειρογνωμοσύνη επί της νόσου και καλή εμπειρία στην έρευνα και ανάπτυξη.

Οφέλη από τη συμμετοχή των ασθενών

Η διαβούλευση μεταξύ της κοινότητας των ασθενών και του φορέα ανάπτυξης φαρμάκων ωρίμασε και εξελίχθηκε σημαντικά κατά τη διάρκεια αυτής της διαδικασίας. Οι οργανώσεις ασθενών που συμμετείχαν θα μπορούσαν να αποδείξουν με επιτυχία στον κλάδο και στις ρυθμιστικές αρχές ότι οι γνώσεις και η εμπειρία της κοινότητας των ασθενών μπορούν να προσφέρουν ουσιαστική συμβολή στη διαδικασία ανάπτυξης. Η καινοτόμος προσέγγιση της κοινότητας έδωσε μέχρι έναν βαθμό το «κουράγιο» στη διαδικασία ανάπτυξης να εφαρμόσει αντισυμβατικές στρατηγικές, όταν τα προκαταρκτικά αποτελέσματα από προηγούμενες δοκιμές είναι αρκετά πειστικά (και οι δύο νέες ενώσεις ήταν ήδη γνωστό ότι ήταν ασφαλείς και καλά ανεκτές εκείνη τη χρονική στιγμή).

Αυτή η νέα προσέγγιση οδήγησε σε μακροχρόνια αποτελέσματα και εμπιστοσύνη μεταξύ των ενδιαφερόμενων μερών. Η συνεργασία δύο οργανώσεων ασθενών από τις δύο πλευρές του Ατλαντικού εισήλθε σε μια νέα, πιο εντατική φάση, επιτρέποντας έτσι την ανταλλαγή εμπειριών μεταξύ των κοινοτήτων των ανθρώπων που ζουν με τον ιό HIV. Η μελέτη DUET είχε ως αποτέλεσμα να ξεπεραστεί η συσσωρευμένη ανθεκτικότητα σε πολλά φάρμακα (MDR) για χιλιάδες ασθενείς που προηγουμένως λάμβαναν βαριά θεραπεία.

Προκλήσεις και εμπόδια

Η παροχή παρηγορητικής χρήσης νέων ενώσεων σε ασθενείς με μειωμένες επιλογές θεραπείας ήταν και παραμένει πρόκληση. Η συμμετοχή σε κλινικές δοκιμές είναι ένα αποτελεσματικό εργαλείο για την πρόσβαση των ασθενών σε νέα φάρμακα.

Η χρήση δύο πειραματικών ενώσεων δεν ήταν κοινή πρακτική. Απαιτήθηκε σημαντική συμβολή συνηγορίας (πολιτική) από την κοινότητα των ασθενών προκειμένου να πεισθεί ο υπεύθυνος ανάπτυξης (και στη συνέχεια η Αμερικανική Υπηρεσία Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA), ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων (EMA) και οι αρμόδιες εθνικές αρχές) για τη νέα αυτή στρατηγική.

Πραγματοποιήθηκε μια σημαντική συνάντηση με την ATAC-DDC, την EATG/ECAB και τη φαρμακευτική εταιρεία στην Αμβέρσα το 2005. Ο ειδικός στόχος της συνάντησης ήταν να πεισθεί η εταιρεία σχετικά με τη χρησιμότητα και την ανάγκη μιας νέας προσέγγισης για παροχή βοήθειας στους ασθενείς που το έχουν ανάγκη.

Ωστόσο, παρέμεινε μια βασική πρόκληση: η φαρμακευτική εταιρεία αποφάσισε να σχεδιάσει τη δοκιμή με ένα σκέλος ελεγχόμενο με εικονικό φάρμακο, γεγονός που σημαίνει ότι το 50% των ασθενών έλαβαν εικονικό φάρμακο και μία υπό διερεύνηση ένωση, αλλά όχι και τα δύο νέα φάρμακα.

Διδάγματα

Η συμμετοχή οργανώσεων ασθενών και εμπειρογνομόνων ασθενών στην ανάπτυξη φαρμακευτικών προϊόντων δεν είναι πλέον κάτι το μοναδικό. Ωστόσο, απαιτούνται νέες στρατηγικές και αδιάλειπτη εργασία, σε συνδυασμό με συνεχή αυτοεκπαίδευση και εις βάθος γνώση του τομέα από την κοινότητα, προκειμένου να περιηγηθούμε στο πολύπλοκο περιβάλλον της ανάπτυξης και έρευνας φαρμάκων.

Απαιτείται εντατικότερη αλληλεπίδραση με τις ρυθμιστικές αρχές ώστε να αξιοποιηθούν οι πολιτικοί στόχοι και η πίεση που θέλουν να ασκήσουν οι οργανώσεις ασθενών για να επιτύχουν τους στόχους τους, στην προκειμένη περίπτωση τη διαθεσιμότητα νέων επιλογών θεραπείας.

Παρ' όλες τις προσπάθειες, οι οργανώσεις ασθενών μπόρεσαν να επιτύχουν μόνο ένα μερικό αποτέλεσμα: ένα σκέλος ελεγχόμενο με εικονικό φάρμακο παρέμεινε μέρος των σχετικών δοκιμών. Ωστόσο, θα μπορούσαν να επιτευχθούν βελτιώσεις σε αυτόν τον τομέα σε μεταγενέστερα σχέδια μελετών που θα αναπτυχθούν με συμμετοχή των ασθενών.

Η βελτίωση του συντονισμού μεταξύ των οργανώσεων ασθενών και η πιο τακτική ανταλλαγή εμπειριών εντός και εκτός ενός συγκεκριμένου τομέα νόσων θα οδηγήσουν σε βελτίωση της αποτελεσματικότητας και της αποδοτικότητας της συμμετοχής των

ασθενών στην έρευνα.

Συνημμένα

Έκδοση;