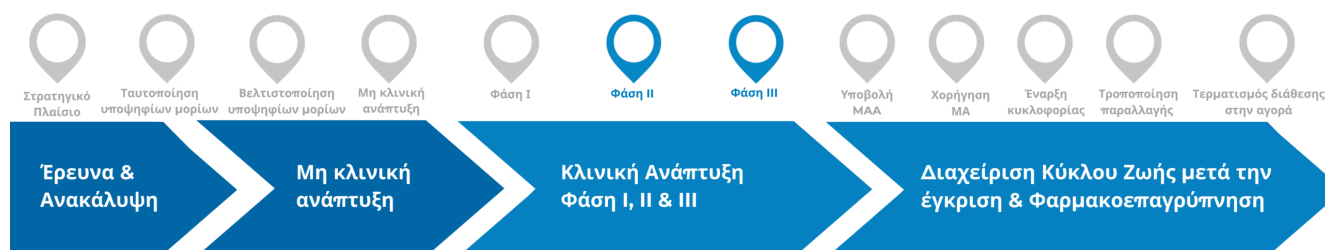


Συμμετέχοντες ασθενείς – DevelopAKUre για την αλκαπτονουρία

Εισαγωγή

Παράδειγμα σύμπραξης δημόσιου και ιδιωτικού τομέα από διάφορες διεθνείς ομάδες του κλάδου (Sobi), οργανώσεις ασθενών (AKU Society και ALCAP), νοσοκομεία (Royal Liverpool, Hospital Necker και Εθνικό Ινστιτούτο Ρευματικών Παθήσεων), ακαδημαϊκά ιδρύματα (Πανεπιστήμιο του Λίβερπουλ και Πανεπιστήμιο της Σιένα, Ινστιτούτο Μοριακής Φυσιολογίας και Γενετικής) και μικρομεσαίες επιχειρήσεις (Nordic Bioscience, PSR και Cudos) για τη θεραπεία της αλκαπτονουρίας (AKU).



Πότε συμμετέχουν οι ασθενείς; – Φάση II-III

Περιγραφή της υπόθεσης

Το DevelopAKUre είναι μια σειρά τριών κλινικών μελετών που χρηματοδοτούνται από το 7ο Πρόγραμμα Πλαίσιο (FP7) της Ευρωπαϊκής Επιτροπής. Θα διερευνήσουν το φάρμακο νιτισινόνη, για να βρουν αποδεικτικά στοιχεία για το αν λειτουργεί για τη θεραπεία της αλκαπτονουρίας (AKU). Το πρόγραμμα περιλαμβάνει μια μελέτη δόσης-απόκρισης (SONIA1), μια μελέτη αποτελεσματικότητας (SONIA2) για τη σύγκριση της μη θεραπείας με τη θεραπεία και μια διατομεακή μελέτη (SOFIA) για τον

προσδιορισμό της βέλτιστης ηλικίας για έναρξη της θεραπείας. Οι μελέτες πραγματοποιούνται σε τρεις τοποθεσίες στην Ευρώπη (Ηνωμένο Βασίλειο, Γαλλία και Σλοβακία).

Το DevelopAKUre καθοδηγείται από τους ασθενείς, με επικεφαλής συνεργάτη την AKU Society, διασφαλίζοντας ότι οι απόψεις των ασθενών λαμβάνονται υπόψη στα στάδια σχεδιασμού και σε όλες τις διενεργούμενες μελέτες. Η AKU Society είναι πλέον επικεφαλής στην προσέλκυση και υποστήριξη ασθενών, στην κατάρτιση εγγράφων πληροφόρησης ασθενών και στην προώθηση της διατήρησης των ασθενών. Η AKU Society συγκέντρωσε πρόσθετη χρηματοδότηση από μια εκστρατεία συμμετοχικής χρηματοδότησης (crowdfunding) που πραγματοποιήθηκε μέσω του Indiegogo, προκειμένου να είναι σε θέση να παρέχει υψηλό επίπεδο φροντίδας για τους ασθενείς καθ' όλη τη διάρκεια του DevelopAKUre.

Η AKU Society συντονίζει επίσης τη διάδοση του προγράμματος, διασφαλίζοντας ότι οι δραστηριότητές του κοινοποιούνται στους ασθενείς και στο κοινό.

Περισσότερες πληροφορίες στη διεύθυνση <https://akusociety.org/aku-clinical-trials/>

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.
- Εμπειρογνώμονας ασθενής/συνήγορος ασθενών με καλή εμπειρογνωμοσύνη στην ασθένεια και καλή εμπειρία στην έρευνα και ανάπτυξη.

Οφέλη από τη συμμετοχή των ασθενών

Το DevelopAKUre είναι μοναδικό: μια κλινική δοκιμή με πραγματική καθοδήγηση από τους ασθενείς. Πιστεύουμε ότι θα μπορούσε να δημιουργήσει ένα νέο πρότυπο στην ιατρική έρευνα, συμβάλλοντας στην προώθηση της συμμετοχής των ασθενών στον σχεδιασμό και στη διεξαγωγή κλινικών δοκιμών, εισάγοντας την ιδέα της συμμετοχής ομάδων ασθενών ως ενεργών συνεργατών που μπορούν να αναλάβουν ηγετική θέση σε εργασίες όπως η προσέλκυση και η διατήρηση ασθενών.

Η συμμετοχή των ομάδων ασθενών στον σχεδιασμό των κλινικών δοκιμών βελτίωσε την εμπειρία των ασθενών, από την υποστήριξη μιας πιο απλοποιημένης διαδικασίας επιστροφής εξόδων και τη χρηματοδότηση για τα ταξίδια των φροντιστών, μέχρι το ότι έκαναν προαιρετικές τις επεμβατικές εξετάσεις και μείωσαν τον αριθμό των επισκέψεων στα κέντρα εξετάσεων.

Προκλήσεις και εμπόδια

1. Χρηματοδότηση: Περάσαμε αρκετά χρόνια προσπαθώντας να συγκεντρώσουμε χρηματοδότηση για κλινική έρευνα. Τελικά, υποβάλαμε αίτηση και λάβαμε χρηματοδότηση ύψους 6 εκατομμυρίων ευρώ από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή. Καθώς η ιατρική έρευνα είναι τόσο δαπανηρή, θεωρούμε απίθανο οι εθνικοί φορείς να μπορούσαν να παρέχουν αρκετά μεγάλες επιχορηγήσεις για έρευνα σε σχέση με σπάνιες ασθένειες.
2. Νομικά / Δεοντολογικά ζητήματα: Η AKU Society είναι ηγετικός οργανισμός όσον αφορά την ενημέρωση των ασθενών, η οποία απαιτεί την παροχή επαγγελματικών συμβουλών σχετικά με νομικές και δεοντολογικές ανησυχίες. Βασιζόμαστε σε άλλους συνεργάτες (PSR) και σε επιτροπές ελέγχου για αυτήν τη συμβολή.
3. Γλώσσα: Το μεγαλύτερο εμπόδιο για την εξεύρεση ασθενών στην Ευρώπη ήταν τα γλωσσικά ζητήματα. Οι μεταφράσεις έχουν προσθέσει σημαντικό κόστος στην παραγωγή πληροφοριών για τους ασθενείς.

4. Ρυθμιστικά ζητήματα: Επιλύθηκαν μέσω εξωτερικών συμβουλών, κυρίως των συνεργαζόμενων μικρομεσαίων επιχειρήσεων, και επιστημονικών συμβουλών από τον EMA.

Διδάγματα

Ελπίζουμε να δούμε περισσότερη έρευνα υπό την καθοδήγηση των ασθενών, όπου οι ασθενείς συμμετέχουν στον σχεδιασμό και στη διεξαγωγή των μελετών και οι ομάδες ασθενών έχουν ενεργό ρόλο. Πιστεύουμε ότι οι ομάδες ασθενών συμμετέχουν περισσότερο στην κατανόηση του τρόπου με τον οποίο η ασθένεια επηρεάζει τους ασθενείς και έτσι αποτελούν μια καλή επιλογή για συνεργάτες στην έρευνα. Απαιτείται πρόσθετη κατάρτιση (όπως από την EURPATI) για τη συνεργασία με φαρμακευτικούς και ακαδημαϊκούς φορείς, τη διαδικασία ανάπτυξης φαρμάκων και τις ηθικές/νομικές απαιτήσεις των δοκιμών. Πολλές ομάδες ασθενών χρειάζονται παρότρυνση ώστε να δείξουν ότι η συμβολή τους είναι πολύτιμη και σημαντική για την ιατρική έρευνα.

A3-DevelopAKUre-V1.0

Συνημμένα