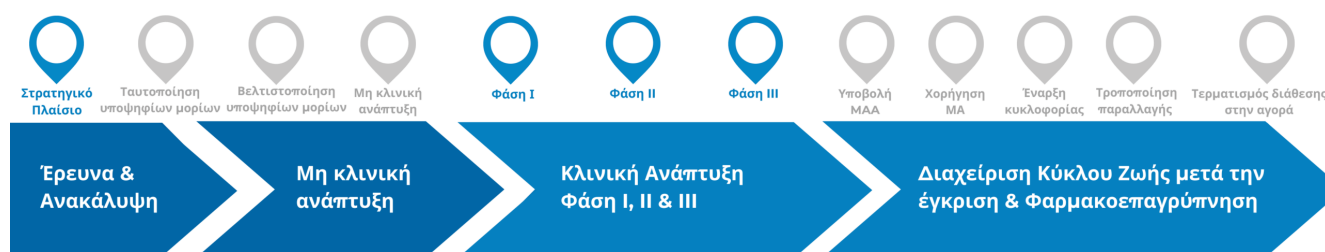


Συμμετέχοντες ασθενείς – Duchenne Parent Project

Εισαγωγή

Ανάπτυξη μιας θεραπείας/αγωγής για τη νόσο Duchenne από τον οργανισμό Duchenne Parent Project σε συνεργασία με το Πανεπιστήμιο Leiden και την Prosensa (συνεργάτης βιοτεχνολογίας) – GSK.



Πότε συμμετέχουν οι ασθενείς; – Στρατηγικό πλαίσιο, Φάσεις I-II-III

Περιγραφή της υπόθεσης

Ανάπτυξη μιας θεραπείας/αγωγής για τη μυϊκή δυστροφία Duchenne.

Ο οργανισμός Duchenne Parent Project συμμετείχε σε διάφορες πτυχές του έργου:

- Παρείχε χρηματοδότηση για έρευνα στο Πανεπιστήμιο (Leiden) και στη βιοτεχνολογία (Prosensa).
- Παρείχε χρηματοδότηση για τη δοκιμή φάσης I β (τοπική έγχυση).
- Συμμετείχε στην εξεύρεση ασθενών και στα μητρώα ασθενών για τις δοκιμές παρακολούθησης.
- Συμμετείχε στην καθιερωμένη περίθαλψη (που απαιτείται

για κλινικές δοκιμές).

- Συμμετείχε στην ανάπτυξη των μετρήσεων αποτελεσμάτων.
- Παρείχε πληροφορίες σε οικογένειες και ασθενείς.
- Συζητήσεις με τις ρυθμιστικές αρχές.

Τύποι συμμετεχόντων ασθενών (ή συνηγόρων ασθενών)

- Ασθενείς/γονείς 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

Ο οργανισμός Duchenne Parent Project (DPP) ήταν μέρος της πρωτοβουλίας από την πρώτη μέρα. Χωρίς τον DPP, το ερευνητικό πρόγραμμα και η παρακολούθηση πιθανόν να μην είχαν ξεκινήσει ποτέ.

Στο τέλος, τα φάρμακα πρέπει να αποδεικνύεται ότι είναι «κλινικά χρήσιμα» για τους ασθενείς, οπότε το να ξεκινάμε από τους ασθενείς αποτελεί έναν πολύ καλό τρόπο για την ανάπτυξη φαρμάκων (από το κρεβάτι του ασθενούς μέχρι τον πάγκο εργασίας).

Οι ασθενείς αποτελούν την κινητήρια δύναμη για την επιτάχυνση της έρευνας και της μετάβασης από το εργαστήριο στον ασθενή (από τον πάγκο της εργασίας μέχρι το κρεβάτι του ασθενούς).

Προκλήσεις και εμπόδια

Η συνεργασία με την εταιρεία βιοτεχνολογίας ήταν «εύκολη». Ωστόσο, όταν το πρώτο προϊόν αναλήφθηκε από τη «μεγάλη φαρμακευτική εταιρεία» GSK, η συνεργασία (όπως οι συζητήσεις σχετικά με τον σχεδιασμό δοκιμών, οι μετρήσεις αποτελεσμάτων,

η εξεύρεση συμμετεχόντων και άλλες πολιτικές) έγινε πολύ δύσκολη, καθώς οι μεγάλες φαρμακευτικές εταιρείες έχουν αυστηρούς κανόνες σε σχέση με το ότι δεν πρέπει να υπάρχει αλληλεπίδραση με τους ασθενείς πριν από την κυκλοφορία ενός προϊόντος στην αγορά. Οι εταιρείες πρέπει να σχεδιάζουν δοκιμές για το πλήρες φάσμα ασθενών και όχι μόνο για μια μικρή κατηγορία, καθώς στο τέλος, όταν το προϊόν κυκλοφορήσει στην αγορά, είναι πολύ πιθανό να έχει λάβει έγκριση μόνο για την ίδια μικρή κατηγορία.

Οι ρυθμιστικές αρχές έχουν πολύ περιορισμένες γνώσεις σχετικά με την ασθένεια.

Διδάγματα

Εκ των υστέρων, θα έπρεπε να είχαμε ξεκινήσει νωρίτερα με τη συλλογή δεδομένων φυσικής ιστορίας. Κατά την αναζήτηση μιας θεραπείας, η συλλογή δεδομένων φυσικής ιστορίας δεν ακούγεται «σέξι», αλλά μπορεί να βοηθήσει σημαντικά στην επιτάχυνση της διαδικασίας ανάπτυξης φαρμάκων και να μειώσει το μέγεθος της ομάδας εικονικών φαρμάκων. Όταν τα δεδομένα φυσικής ιστορίας συλλέγονται (και κατέχονται) από οργανώσεις ασθενών, μπορούν να χρησιμοποιηθούν από διάφορες εταιρείες.

Βεβαιωθείτε ότι έχετε μετρήσεις αποτελεσμάτων για όλες τις ομάδες. Ξεκινήσαμε και χρηματοδοτούμε πρωτοβουλίες για την ανάπτυξη αυτών των μετρήσεων αποτελεσμάτων.

Ενημερώστε τις ρυθμιστικές αρχές σχετικά με την ασθένειά σας και τις προτιμήσεις των ασθενών.

A3-DPP-V1.0

Συνημμένα