

Συμμετοχή ασθενών – Οργάνωση ασθενών προωθεί κλινική δοκιμή Φάσης I

Εισαγωγή

Συμμετοχή του φιλανθρωπικού ιδρύματος «Παιδιά με NMA» (νωτιαία μυϊκή ατροφία) για να συνάψει συνεργασία με το ακαδημαϊκό ίδρυμα «Ινστιτούτο Νευρολογίας, Ψυχιατρικής και Ναρκολογίας της Εθνικής Ακαδημίας Ιατρικών Επιστημών της Ουκρανίας» («Institute of Neurology, Psychiatry and Narcology of NAMS Ukraine») με σκοπό τον σχεδιασμό μιας πιλοτικής κλινικής δοκιμής που θα εξετάζει ζητήματα σχετικά με τις κλινικές δοκιμές για τη NMA.



Περιγραφή της υπόθεσης

Αν και συγκεκριμένα φάρμακα με σαφές κλινικό όφελος απουσιάζουν από τη θεραπεία των ασθενών με νωτιαία μυϊκή ατροφία (NMA), τόσο οι γιατροί όσο και οι οικογένειες των ασθενών χρησιμοποιούν ευρέως εκτός εγκεκριμένων ενδείξεων πολυάριθμα φάρμακα και φυσικοθεραπευτικές παρεμβάσεις στην Ουκρανία. Ένα δεύτερο πρόβλημα είναι η έλλειψη κινητικότητας των ασθενών με NMA λόγω κινδύνων για την υγεία και περιορισμών των υποδομών. Επίσης, υπάρχουν κοινά αποδεκτές δυσκολίες με τη

μέτρηση των θεραπευτικών αποτελεσμάτων στη NMA.

Τα προαναφερθέντα προβλήματα περιπλέκονται λόγω της απροθυμίας των φαρμακευτικών εταιρειών να διεξάγουν κλινικές δοκιμές ή προκλινική έρευνα στην Ουκρανία καθώς και της έλλειψης κρατικών επενδύσεων στην έρευνα για σπάνιες νόσους.

Η οργάνωσή μας, CSMA («Παιδιά με NMA»), διατηρούσε επαφές με το ακαδημαϊκό ίδρυμα «Ινστιτούτο Νευρολογίας, Ψυχιατρικής και Ναρκολογίας της Εθνικής Ακαδημίας Ιατρικών Επιστημών της Ουκρανίας», το οποίο μας παρείχε έναν εμπειρογνώμονα-εθελοντή που σχεδίασε μια πιλοτική κλινική δοκιμή καλύπτοντας τα περισσότερα από τα ζητήματα που αναφέρθηκαν προηγουμένως στις κλινικές δοκιμές για τη NMA. Η συνεργασία μάς παρείχε επίσης πρόσβαση σε μια θεσμική επιτροπή δεοντολογίας, χάρη στην οποία διενεργήθηκε ανεξάρτητη δεοντολογική αξιολόγηση των έργων μας από εμπειρογνώμονες.

Κύριοι στόχοι της δοκιμής που θα ξεκινήσει τον Ιανουάριο – Φεβρουάριο του 2015 είναι να αποδειχθεί η δυνατότητα διεξαγωγής κλινικών δοκιμών για τη NMA στην Ουκρανία και να βρεθούν οι πλέον κατάλληλες μορφές και σχέδια για την οργάνωσή τους. Το πρωτόκολλο της δοκιμής έχει ήδη εγκριθεί από την επιτροπή δεοντολογίας.

Τύποι συμμετεχόντων ασθενών (ή συνηγόρων ασθενών)

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

Οφέλη από τη συμμετοχή των ασθενών

Τα κύρια οφέλη του έργου μας είναι η προώθηση της E&A στη NMA, η βελτιστοποίηση των σχεδίων μελετών και η ανάπτυξη

συνεργασίας μεταξύ ακαδημαϊκών/ερευνητικών ιδρυμάτων και οργανώσεων ασθενών στην Ουκρανία. Εφόσον δεν υπάρχει ανάλογη εμπειρία στην Ουκρανία, προσβλέπουμε στην απόκτηση πολύτιμων πληροφοριών σχετικά με συγκεκριμένους εθνικούς σκοπούς και εμπόδια στην έρευνα για τη NMA.

Προκλήσεις και εμπόδια

Οι πιο προφανείς προκλήσεις και τα εμπόδια είναι η έλλειψη ειδικής εμπειρίας στην Ε&Α για τη NMA στην Ουκρανία, τα ανεπαρκή κίνητρα των ερευνητών ή των σχετικών ιδρυμάτων και η έλλειψη επάρκειας των εκπροσώπων κυρίως της κοινότητας των ασθενών αναφορικά με τις αρχές της τεκμηριωμένης ιατρικής, καθώς και τα γενικά θέματα Ε&Α.

Διδάγματα

Σε αυτό το στάδιο του έργου είναι δυνατόν να διαπιστωθεί ότι, παρά την επαρκή επιστημονική και ιατρική υποδομή στην Ουκρανία, τα κίνητρα για Ε&Α στον τομέα της NMA, τόσο στη βιομηχανία όσο και στους ακαδημαϊκούς ερευνητές, είναι ανεπαρκή. Ένας βασικός παράγοντας για την επιτυχή πρόοδο στην έρευνα για τη NMA είναι ο επαρκής αριθμός εμπειρων και με τα κατάλληλα κίνητρα ερευνητών καθώς και εκπροσώπων ασθενών και εμπειρογνομόνων Ε&Α της ΕΕ.

A3-Νωτιαία -μυϊκή-ατροφία προωθεί-τη φάση I_Έκδοση 1.0

Συνημμένα

- Έκθεση με συμμετοχή ασθενών: Οργάνωση ασθενών προωθεί κλινική δοκιμή φάσης I

Μέγεθος: 856,309 bytes, Μορφή: .pdf

Ενημερωτικό γράφημα που περιγράφει μια περίπτωση συμμετοχής ενός ιδρύματος για τη νωτιαία μυϊκή ατροφία μαζί με ένα ακαδημαϊκό ίδρυμα για τον σχεδιασμό μιας

πιλοτικής κλινικής δοκιμής, η οποία καλύπτει ζητήματα που αφορούν τις κλινικές δοκιμές για τη NMA.