

Руководство по участию пациентов в отраслевых исследованиях и разработке медицинских препаратов

Основные принципы участия пациентов в процессе исследований и разработки медицинских препаратов

Европейская академия пациентов (EUPATI) – это совместный всеевропейский проект в рамках Инициативы по инновационным медицинским препаратам (Innovative Medicines Initiative, IMI), созданный 33 организациями, в котором на партнерских началах принимают участие организации по защите прав пациентов, университеты, некоммерческие организации и фармацевтические компании. В Европейской академии пациентов термин «пациент» относится группам людей любого возраста, страдающих самыми разными заболеваниями. Европейская академия пациентов концентрируется не на вопросах, связанных с конкретными болезнями или методами лечения, а на процессе разработки медицинских препаратов в целом. Информация, связанная с конкретными показаниями или возрастом, или использование конкретных медицинских препаратов при медицинском вмешательстве относятся не к компетенции Европейской академии пациентов, а к сфере полномочий медицинских специалистов, а также организаций пациентов. За более подробной информацией обращайтесь на eupati.eu/.

Преобладающее большинство экспертов, участвующих в разработке и оценке медицинских препаратов – это ученые, занятые как в частном, так и государственном секторе. Все актуальнее становится необходимость опереться на знания и опыт пациентов для того, чтобы понять, что представляет собой жизнь человека с определенным заболеванием, как осуществляется лечение и как изо дня в день используются медицинские препараты. Эти сведения способствуют совершенствованию процесса открытия, разработки и оценки новых эффективных медицинских препаратов.

Необходимо структурированное взаимодействие с пациентами всех возрастных категорий, имеющих разные заболевания, их представителями и другими заинтересованными сторонами. Оно позволяет организовать обмен информацией и конструктивный диалог на национальном и европейском уровнях, при котором могут и должны учитываться мнения тех, кто использует медицинские препараты. Важно принимать во внимание, что и системы здравоохранения, и практика лечения, и законодательство могут различаться.

Мы рекомендуем стремиться к тесному сотрудничеству и формировать партнерские отношения между различными заинтересованными сторонами, включая ассоциации медицинских специалистов, контрактные научно-исследовательские организации, объединения пациентов и потребителей*, учебные заведения, научные и академические сообщества, контрольно-надзорные органы, органы по медицинско-технологической оценке (МТО), а также участников фармацевтической отрасли. Полученный на сегодняшний день опыт показывает, что участие пациентов позволяет повысить уровень прозрачности и увеличить степень доверия и взаимоуважения между пациентами и другими заинтересованными сторонами.

Сегодня все сходятся во мнении, что при участии пациентов в поиске, разработке и оценке медицинских препаратов повышается качество получаемых подтверждающих данных и мнений.^[1]

Существующие отраслевые правила по вовлечению пациентов в

деятельность ключевых партнеров охватывают не весь процесс исследования и разработки лекарственных препаратов. Руководства, представленные Европейской академией пациентов, направлены на поддержку интеграции участия пациентов в процессы исследований и разработки медицинских препаратов на всех этапах.

Эти руководства разработаны Европейской академией пациентов для всех заинтересованных сторон, которые намерены взаимодействовать с пациентами по вопросам исследований и разработки медицинских препаратов. При использовании этих руководств допустимы отклонения от приведенных рекомендаций в соответствии с конкретными обстоятельствами, национальным законодательством или возникающими при взаимодействии индивидуальными потребностями. Это руководство можно приспособлять к индивидуальным потребностям при условии использования оптимальной профессиональной оценки.

Существует четыре отдельных руководства, связанных с участием пациентов в следующих сферах:

- осуществляемых фармацевтической отраслью исследованиях и разработке лекарственных препаратов,
- комитетах по этике,
- Контрольно-надзорные органы
- медицинско-технологической оценке (МТО),

В каждом руководстве предлагаются области, в которых на настоящий момент имеются возможности для участия пациентов. Эти руководства подлежат периодическому пересмотру и редактированию для отображения происходящих изменений.

В этом руководстве регулируется участие пациентов в отраслевых исследованиях и разработке медицинских препаратов.

В руководстве обозначены следующие ценности, которые могут прорабатываться с помощью предлагаемых рабочих стратегий (раздел 7). Ценности:

| | |
|-----------------------|---|
| Актуальность | Пациенты располагают уникальными знаниями, видением и опытом, которые становятся частью существенных подтверждающих данных для отраслевых исследований и разработок. |
| Справедливость | Пациенты имеют такое же право участвовать в процессе исследований и разработок, как другие заинтересованные стороны, и получать доступ к знаниям и опыту, которые способствуют их эффективному участию. |
| Равноправие | Участие пациентов в исследованиях и разработке медицинских препаратов способствует соблюдению равноправия благодаря стремлению удовлетворить разнообразные потребности пациентов с особыми проблемами со здоровьем, уравнивая их с потребностями отрасли. |
| Укрепление потенциала | Процессы участия пациентов предназначены для устранения барьеров, которые препятствуют вовлечению пациентов в исследования и разработки медицинских препаратов, и повысить потенциал совместной работы пациентов и научно-исследовательских организаций. |

Согласно положениям всех четырех документов Европейской академии пациентов, все разрабатываемые в дальнейшем руководства необходимо согласовывать с действующим национальным законодательством, регулирующим рассматриваемые случаи взаимодействия.

Заявление об отказе

Это руководство разработано Европейской академией пациентов для всех заинтересованных сторон, которые намерены взаимодействовать с пациентами по вопросам исследований и разработки медицинских препаратов на любых этапах указанных исследований и разработок.

Эти руководства не являются обязательными предписаниями и не содержат подробных пошаговых рекомендаций.

При использовании этого руководства необходимо учитывать конкретные обстоятельства, национальное законодательство или возникающие при каждом отдельном взаимодействии индивидуальные потребности. Это руководство можно приспособлять к индивидуальным потребностям при условии использования оптимальной профессиональной оценки.

В тех случаях, когда в руководстве приведены рекомендации юридического характера, их не следует рассматривать как точное юридическое толкование и замену официальной юридической консультации. При возникновении необходимости в официальной консультации заинтересованной стороне следует обратиться в свой юридический отдел (при наличии такового) или получить юридическую консультацию из компетентных источников.

Европейская академия пациентов ни при каких обстоятельствах не несет ответственности за какие бы то ни было последствия использования этого руководства.

Проекту Европейской академии пациентов оказана поддержка со стороны Совместного проекта по инициативам в сфере инновационных лекарственных препаратов (Innovative Medicines Initiative Joint Undertaking) в соответствии с соглашением о предоставлении денежных средств № 115334, которые получены за счет денежных взносов по Седьмой рамочной программе Европейского Союза (European Union's Seventh Framework Programme, FP7/2007–2013) и компаний-участников Европейской

федерации ассоциаций фармацевтической отрасли (EFPIA).

Введение в участие пациентов в отраслевых исследованиях и разработке медицинских препаратов.

Важность и преимущества более активного участия пациентов в исследованиях и разработке признаются повсеместно. Многие лидеры фармацевтической отрасли [2] объединились для совместного призыва к действиям с целью сотрудничества с пациентами в ходе разработки и существования медицинских препаратов. На протяжении многих лет сообщество пациентов также обращалось к компаниям с призывом позволить пациентам принимать участие в исследованиях и разработке медицинских препаратов, начиная с самых ранних этапов.

В отрасли сформировалось целое течение в поддержку ориентированности на нужды пациентов, благодаря которому появились Научно-исследовательский институт по результатам, ориентированным на пациента (Patient-Centered Outcomes Research Institute, PCORI), инициатива «Разработка лекарств, ориентированных на пациента» (Patient-Focused Drug Development, PFDD) Управления по контролю пищевых продуктов и лекарственных средств США (FDA), Инициатива по трансформации клинических испытаний (Clinical Trials Transformation Initiative, CTTI) и коалиция «Разработка медицинских препаратов, ориентированных на пациента» (Patient Focused Medicine Development (PFMD). Европейская академия пациентов и другие проекты в рамках Инициативы по инновационным медицинским препаратам (IMI) являются лидерами на территории Европы в вопросе содействия участию пациентов в исследованиях и разработке с выходом за рамки конкретных показаний. Более масштабное вовлечение пациентов может создать целый ряд

преимуществ для всех задействованных сторон, таких как, среди прочих, определение и понимание неудовлетворенных потребностей, расстановка приоритетов при проведении исследований, оптимизация дизайнов клинических испытаний, методов измерения результатов и разработки конечных точек. Целью любого взаимодействия должно быть совершенствование процесса исследований и разработки медицинских препаратов путем реализации потребностей и приоритетов пациентов.

О наличии необходимости создания четкого руководства по участию пациентов в исследованиях и разработках фармацевтической отрасли и взаимодействия между пациентами и представителями отрасли свидетельствуют следующие факты:

- существующие кодексы поведения (см. Приложение 1), за исключением общих заявлений относительно взаимодействия, не регулируют участие пациентов в отраслевых исследованиях и разработках надлежащим образом;
- отсутствует основополагающее руководство, в котором предусматривалось бы осмысленное и этичное взаимодействие;
- участие пациентов и организаций пациентов должно быть проактивным и продолжительным, особенно на начальных этапах открытия, разработки и в период после утверждения медицинского препарата, а взаимодействие не должно ограничиваться клиническими разработками;
- относительно участия пациентов необходимо использовать более директивные языковые средства, при этом по умолчанию должен действовать четкий постулат о том, что взаимодействие разрешено во всех случаях, если оно явным образом не запрещено, с подробным согласованием того, как должна осуществляться такая деятельность;
- любое взаимодействие с пациентами должно осуществляться профессионально, этично и без рекламы (с учетом местных нормативно-правовых актов).

Предмет регулирования

Это руководство для Европы регулирует взаимодействие между пациентами и представителями фармацевтической отрасли на всех этапах исследований и разработки медицинских препаратов, предназначенных для лечения людей. &Это руководство для Европы предназначено для всех организаций, выполняющих отраслевые исследования и разработки, и предусматривает вовлечение пациентов на всех этапах исследований и разработки медицинских препаратов. Сюда относится деятельность на этапах предварительного утверждения и постмаркетингового наблюдения, в которой участвуют отдельные лица и группы пациентов. . «Пациентами» могут быть отдельные пациенты или ухаживающие за пациентами лица, а также представители организаций пациентов, обладающие соответствующей компетенцией (раздел 5). На Рис. 1 продемонстрировано, как в настоящее время могут задействоваться пациенты, но указанными направлениями их потенциальное участие не ограничивается, и эти возможности могут со временем меняться и расширяться.

Любую деятельность необходимо осуществлять в соответствии с действующим в Европе и отдельных странах законодательством, регулирующим фармацевтическую отрасль и взаимодействие с общественностью. Кроме того, в компаниях должны реализовываться собственные внутренние процедуры.

Определение «пациента»

Слово «пациент» часто используется как общий, расплывчатый термин, не отражающий разные виды участия и опыта, которые требуются от пациентов, защитников их прав и организаций пациентов в разных процессах, из которых состоит сотрудничество.

Для более четкого представления о терминологии при

рассмотрении потенциальных вариантов взаимодействия с пациентами, представленных в этом и других руководствах, необходимо пояснить, что мы используем термин «пациент» в следующих значениях:

- «Отдельные пациенты» – это люди, которые имеют собственный опыт жизни с каким-либо заболеванием. Они могут обладать или не обладать техническими знаниями об исследованиях и разработках или нормативно-правовых процессах, но их основная задача – принимать участие, делаясь своим субъективным опытом, связанным с болезнью и лечением.
- «Лица, осуществляющие уход» – это люди, которые оказывают поддержку отдельным пациентам, например, члены семьи, а также оплачиваемые сиделки или помощники-волонтеры.
- «Защитники прав пациентов» – это люди, которые располагают представлением о том и опытом в том, как оказывать поддержку более многочисленной группе пациентов, страдающих определенным заболеванием. Они могут осуществлять свою деятельность как в рамках какой-либо организации, так и самостоятельно.
- «Представители организаций пациентов» – это лица, которые наделены полномочиями представлять и выражать коллективное мнение какой-либо организации пациентов по конкретному вопросу или в области какого-либо заболевания.
- «Эксперты по правам пациентов» помимо компетенции, связанной с заболеванием, располагают техническими знаниями в области исследований и разработок и (или) по нормативно-правовым вопросам благодаря обучению или опыту, например, члены Европейской академии пациентов, которые прошли здесь обучение по всем аспектам исследований и разработки медицинских препаратов.

В отношении участия отдельных пациентов в совместной деятельности с заинтересованными сторонами могут возникать

ограничения ввиду того, что их участие является субъективным и открытым для критики. Тем не менее, Европейская академия пациентов, так же как контрольно-надзорные органы, признает ценность равноправия и не исключает вовлечение отдельных лиц. Возможностью выбора наиболее подходящего варианта представления пациента с точки зрения того, какая из групп пациентов должна осуществлять тот или иной вид деятельности, наделяется организация (наделяются организации), которая является (являются) инициаторами взаимодействия (см. п. 7). Предполагается, что при участии отдельного пациента соответствующая организация пациентов – при наличии таковой – информируется об этом и (или) предоставляет консультации, предлагая поддержку и (или) рекомендации.

Варианты участия и полномочия отдельного лица подлежат совместному согласованию любым подходящим образом до начала действия каких-либо обязательств.

Прозрачность

Для повышения уровня прозрачности при участии пациентов в отраслевых исследованиях и разработках, компаниям и организациям пациентов следует ежегодно отчитываться о своей деятельности на своих интернет-сайтах. Имена отдельных пациентов и другие сведения, касающиеся состояния здоровья, не подлежат разглашению.

Количество опытных и хорошо осведомленных людей в некоторых сферах может быть очень небольшим. Это обстоятельство не должно становиться препятствием для проведения консультаций и создания базы знаний через параллельное взаимодействие с другими заинтересованными сторонами (такими, как контрольно-надзорные органы, другие фармацевтические компании), при этом, однако, такое взаимодействие должно быть открытым.

Рекомендуемые рабочие стратегии

Продвижение и создание долгосрочных партнерских отношений между пациентами, организациями пациентов и участниками отрасли – оптимальный подход, позволяющий предоставить преимущества всем сторонам, при реализации которого сохраняется независимость пациентов и (или) организаций пациентов и учитываются прочие положения существующих кодов поведения, которые найдут свое отражение в активных и прозрачных рабочих процедурах. При этом необходимо признать, что построение отношений может начаться со специального взаимодействия, направленного на удовлетворение краткосрочных потребностей, и затем – в идеале – перерасти во взаимодействие на более частой основе по мере создания партнерских отношений.

Внутреннее кросс-функциональное взаимодействие в пределах любой фармацевтической компании в отношении вовлечения пациентов было бы весьма полезно для всех участников процесса, поскольку компания в таком случае будет играть роль посредника.

Для обеспечения выгодного для всех взаимодействия и должного уровня подготовки необходимо проводить обсуждение предварительных договоренностей. До начала взаимодействия пациентам, их представителям и участникам отрасли следует согласовать конкретные детали относительно взаимодействия, включая его масштаб и характер, необходимые ресурсы и временные рамки, и изложить их в письменном соглашении.

Определение взаимодействия

Пациентам, их представителям и участникам отрасли необходимо принять на себя ответственность за то, чтобы сделать взаимодействие осмысленным с помощью четко определенных

процессов и действий, которые осуществляются в предусмотренные сроки. Кроме того, все участники должны быть готовы к указанному взаимодействию.

Прежде чем вступить в какое-либо взаимодействие, необходимо совместно согласовать следующее (если применимо):

- цель проекта, предполагающего участие пациентов, и (или) сферы совместных интересов для формирования согласованного структурированного взаимодействия, которое обеспечивает всем сторонам необходимую защиту с точки зрения независимости, охраны частной информации, конфиденциальности и соответствия ожиданиям (см. раздел 11, письменное соглашение);
- характер участия и полномочия вовлеченного лица;
- инструменты и методы взаимодействия, например, виды и частота встреч, основные правила, разрешение конфликтов, оценка;
- пациенты и (или) ассоциации пациентов, которых хотелось бы привлечь для формирования долгосрочных рабочих партнерских отношений с обеспечением независимости (в рамках проекта);
- описание вида пациента (пациентов) или его (их) представителя (представителей), участвующего (участвующих) во взаимодействии, и их количества;
- предполагаемое использование результатов и права собственности на них;
- предполагаемое информирование пациента (пациентов) о результатах;
- договорные условия и положения, в том числе о получении согласия и компенсации (см. раздел 11, письменное соглашение);
- прочие детали в отношении конкретного проекта.

Определение пациента и взаимодействие с пациентом

Существует множество способов найти и определить пациентов, с которыми необходимо вступить во взаимодействие. Основные способы:

- существующие организации пациентов;
- Европейская академия пациентов или аналогичный проект;
- возможности для рекламы с приглашением пациентов к участию;
- существующие связи с медицинскими учреждениями, больницами, исследовательскими и прочими учреждениями;
- необработанные заявки, ранее полученные от заинтересованных сторон;
- существующие консультативные советы и (или) группы, (например, аналитический центр Европейской федерации ассоциаций фармацевтической отрасли (EFPIA), Рабочая группа пациентов и потребителей Европейского агентства по лекарственным средствам (EMA));
- учреждения, выступающие третьими сторонами.

Компенсация

Необходимо признать, что во многих случаях пациенты принимают участие в такой деятельности с большой готовностью – и в качестве отдельных лиц, и в качестве члена какой-либо из организаций. В связи с этим необходимо рассмотреть:

- выплату компенсации за все потраченное ими время с добавлением издержек;
- любая предложенная компенсация должна быть справедливой и соответствовать характеру участия; оптимальный вариант оплаты дорожных расходов – перечисление денежных средств в адрес партнера-

организатора, а не возмещение;

- необходимо также предусмотреть покрытие издержек, понесенных организациями пациентов в связи с поиском и определением пациентов для участия в указанной деятельности или поддержкой их участия (например, группы поддержки, обучение и подготовка).
- помощь в организации логистических аспектов участия пациентов, в том числе их перемещения и (или) размещения.

Компенсация также включает в себя косвенные преимущества, не выраженные в денежной форме (такие, как бесплатное предоставление услуг организациями пациентов), и любые иные не выраженные в имущественной форме преимущества, предоставленные пациентам и (или) организациям пациентов (например, обучающие мероприятия, агентские услуги, создание интернет-сайтов).

Все стороны должны соблюдать полную прозрачность относительно любых организационных вопросов, связанных с компенсацией.

Письменное соглашение

В письменном соглашении должно содержаться четкое описание по меньшей мере следующих параметров: описание деятельности и ее задач, характер взаимодействия во время осуществления деятельности, согласие (при необходимости), опубликование, конфиденциальность, компенсация, защита данных, соблюдение законодательных требований, заявление о конфликте интересов, временные рамки. Взаимодействие может осуществляться только на основе письменного соглашения, в котором указаны по меньшей мере основные условия сотрудничества (например, правила участия, соблюдение законодательных требований, интеллектуальная собственность, финансовые выплаты).

Необходимо обеспечить четкость положений указанных письменных соглашений, а также отсутствие ввиду заключения этих соглашений ограничений на надлежащее распространение знаний.

Мероприятия и прием гостей

Способ взаимодействия (встреча, обсуждение по телефону и т. п.) подлежит обсуждению и взаимному согласованию, при этом удобство пациентов и (или) организаций пациентов является наиболее важным приоритетом. В случае если для организации взаимодействия необходима личная встреча или подготовка и проведение мероприятия, их необходимо проводить их в соответствии с кодексами поведения, местным законодательством, в подходящем здании (месте) и на надлежащем уровне обслуживания гостей.

Во время организации мероприятий необходимо учитывать способность всех участников сообщества пациентов, которых планируется на него пригласить, посетить это мероприятие и принять соответствующие меры, направленные на то, чтобы обеспечить его доступность, поддержку по приезду и входу на мероприятие.

Приложение 1 – Обзор кодексов поведения

Ряд действующих кодексов поведения могут стать важной основой для этого руководства.

1. The ECAB Protocol (description of and working procedures of ECAB (European Community Advisory Board, scientific working group at EATG, established 1997))
2. Mandate, objectives and rules of procedure for the European Medicines Agency Human Scientific Committees' Working Party with Patients' and Consumers' Organisations (PCWP) (30 May 2013)
3. Minutes of EMA Human Scientific Committees' Working Party with Patients' and Consumers' Organisations (PCWP) meeting with all eligible organisations (31 January

2014)

4. 10 December 2009 EMA Reflection Paper on the Further Involvement of Patients and Consumers in the Agency's Activities
5. EMA leaflet on working with patients and consumers (updated 22/4/2015)
6. EMA framework of interaction (revised 16 October 2014)
7. Recommendations from ECAB meeting held in Bergen, Norway 1997EATG ECAB, "The impatient Patient - From Anger to Activism" A systematic review of the history, working models, relevance and perspectives of the European Community Advisory Board
8. FDA Patient Representative Program
9. FDA Patient-Focused Drug Development; The Voice of the Patient: A Series of Reports from FDA's Patient-Focused Drug Development Initiative
10. FDA Patient-Focused Drug Development: Enhancing Benefit-Risk Assessment in Regulatory Decision-Making
11. WMA Declaration of Helsinki - Ethical Principles for Medical Research Involving Human Subjects Retrieved 13 July, 2021, from <https://www.wma.net/policies-post/wma-declaration-of-helsinki-ethical-principles-for-medical-research-involving-human-subjects/>

[glossary_exclude] Справочная литература

1. Adapted from the EMA framework. European Medicines Agency (2022). *EMA/649909/2021 Adopted*. https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/engagement-framework-european-medicines-agency-and-patients-consumers-and-their-organisations_en.pdf. Last Accessed 12 February 2024.
2. Hoos A, Anderson J, Boutin M, et al. 2015, Partnering

with patients in the development and lifecycle of medicines: a call for action. Therapeutic Innovation & Regulatory Science. [/glossary_exclude]

*При ведении диалога в области здравоохранения потребители признаются заинтересованными сторонами. Сфера интересов Европейской академии пациентов относится скорее к пациентам, нежели к потребителям, что отражается в образовательных материалах и руководствах.

Приложения