Участие пациентов – DevelopAKUre для AKU

Введение

Пример государственно-частного партнерства с различными международными группами в промышленности (Sobi), организациями по защите прав пациентов (Общество AKU и ALCAP), больницами (Королевская Ливерпульская больница, Больница Некёр и Национальный институт ревматических заболеваний), академическими кругами (Ливерпульский и Сиенский университеты, Институт молекулярной физиологии и генетики), а также малыми и средними предприятиями – МСП (компании Nordic Bioscience, PSR и Cudos) для лечения алкаптонурии (AKU).

Описание проекта

Проект DevelopAKUre представляет собой серию из трех клинических исследований, финансируемых по программе Европейской комиссии FP7. В этих исследованиях будет проводиться оценка лекарственного препарата нитизинона для поиска доказательств его эффективности в лечении алкаптонурии (AKU). Проект включает исследование зависимости эффекта от дозы (SONIA1), исследование эффективности (SONIA2) для сравнения лечения с отсутствием лечения и поперечное исследование (SOFIA) для определения наилучшего возраста начала лечения. Исследования проводятся в трех центрах Европы (Великобритания, Франция и Словакия).

Проект DevelopAKUre возглавляют пациенты; главным партнером, обеспечивающим внимание к точке зрения пациентов на этапах планирования и в ходе текущих исследований, является Общество AKU. В настоящее время Общество AKU проводит набор и поддержку пациентов, разрабатывает документы с информацией для пациента

и содействует удержанию пациентов в исследовании. Общество AKU увеличило дополнительное финансирование проекта за счет средств, собранных в ходе краудфандинговой кампании, проводившейся на сайте Indiegogo, чтобы обеспечить высокий уровень ухода пациентам-участникам проекта DevelopAKUre.

Общество AKU также координирует распространение информации в рамках проекта, обеспечивая предоставление информации о мероприятиях проекта пациентам и общественности.

Дополнительную информацию см. на сайте https://akusociety.org/aku-clinical-trials/

Категория(и) пациентов (защитников прав пациентов), принявших участие в проекте

- Пациенты, которые имеют собственный опыт, связанный с болезнью.
- Компетентные пациенты/защитники прав пациентов, обладающие специальными знаниями о заболевании, но без большого опыта в области исследования и разработки лекарственных препаратов.
- Компетентный пациент/защитник прав пациентов, обладающий специальными знаниями о заболевании и имеющий значительный опыт в области исследования и разработки лекарственных препаратов.

Преимущества участия пациентов

DevelopAKUre – уникальный проект: это клиническое исследование, реально возглавляемое пациентами. Мы считаем, что содействие участию пациентов в планировании и проведении клинических исследований и внедрение идеи вовлечения групп пациентов в качестве активных партнеров, которые могли бы курировать такие задачи, как набор пациентов и их удержание в

исследовании, могли бы создать новую концепцию медицинских исследований.

Участие групп пациентов в планировании клинических исследований позволило пациентам получить положительный опыт, связанный с различными вопросами: от выступлений в защиту рационализации процесса компенсации затрат и финансирования транспортных расходов лиц, осуществляющих уход, до перевода инвазивных анализов в разряд необязательных и уменьшения количества визитов в исследовательские центры.

Сложности и препятствия

1. Финансирование. Мы потратили несколько лет, пытаясь организовать финансирование клинического исследования. В конечном счете мы подали заявку и получили финансирование в размере 6 миллионов евро от Европейской комиссии. Поскольку стоимость клинических исследований очень высока, мы сочли маловероятным получение достаточно больших грантов на исследование редких заболеваний от национальных организаций.
2. Правовые аспекты/этика. Общество AKU представляет информацию для пациентов, что требует проведения профессиональных консультаций по правовым и этическим вопросам. Мы полагаемся на других партнеров (PSR) и экспертные советы по вопросам получения этой информации.
3. Язык. Самым большим барьером для набора пациентов в Европе стали языковые проблемы. Перевод значительно увеличивает затраты на создание информации для пациента.
4. Вопросы нормативно-правового регулирования. Решены за счет независимых консультаций, полученных в основном от наших партнеров из категории малых и средних предприятий, и научных рекомендаций ЕАЛС.

Выводы

Мы надеемся на увеличение количества исследований, возглавляемых пациентами, в которых пациенты участвуют в планировании и проведении исследований, а группам пациентов предоставляется активная роль. Мы считаем, что группы пациентов максимально причастны к пониманию влияния болезни на пациентов и, таким образом, являются полезным партнером в проведении исследования. Необходимо дополнительное обучение (например, от EUPATI) работе с представителями фармацевтической промышленности и научными кругами, процессу разработки лекарственных препаратов и этическим/правовым требованиям, связанным с исследованиями. Многие группы пациентов нуждаются в поощрении, которое покажет ценность и важность их вклада в клиническое исследование.

A3-DevelopAKUre-V1.0

Приложения