

# **Doentes envolvidos – Duchenne Parent Project**

## **Introdução**

Desenvolvimento de uma cura/tratamento para a doença de Duchenne, pelo Duchenne Parent Project em colaboração com a Universidade de Leiden e Prosensa (parceiro de biotecnologia) – GSK.

## **Descrição do caso**

Desenvolvimento de uma cura / tratamento para a Distrofia Muscular de Duchenne.

O Duchenne Parent Project foi envolvido em diferentes aspetos do projeto:

- Financiou a investigação na Universidade (Leiden) e biotecnologia (Prosensa).
- Financiou o ensaio de Fase Ib (injeção local).
- Envolveu-se no recrutamento e registo de doentes para os ensaios de acompanhamento.
- Envolveu-se nos padrões de tratamento (necessário para ensaios clínicos).
- Envolveu-se no desenvolvimento das medições dos resultados.
- Forneceu informações às famílias e aos doentes.
- Discussões regulamentares.

## **Tipo(s) de representante(s) dos**

# doentes envolvidos

- Doentes / pais com experiência pessoal da doença.
- Doentes especialistas / representantes de doentes com bons conhecimentos sobre a doença e boa experiência em I&D.

## Benefícios do envolvimento dos doentes

O Duchenne Parent Project (DPP) fez parte da iniciativa desde o primeiro dia, sem o DPP o projeto de investigação e o acompanhamento provavelmente nunca teriam começado.

No final, os medicamentos têm que mostrar ser "cl clinicamente significativos" para os doentes, pelo que começar a partir de doentes é uma forma muito relevante de desenvolver medicamentos (da cama para a bancada).

Os doentes são a força impulsionadora para acelerar a investigação e translação do laboratório para os doentes (da bancada para a cama).

## Desafios e obstáculos

A colaboração com a empresa de biotecnologia foi "fácil". No entanto, quando o primeiro medicamento foi assumido pela "Grande farmacêutica" GSK, a colaboração (por exemplo, as discussões sobre o desenho do ensaio, as medições dos resultados, o recrutamento e outras políticas) tornou-se muito difícil uma vez que a Grande farmacêutica tem regras estritas para não interagir com os doentes antes de um medicamento estar no mercado. Ter desenhos de ensaios pelas companhias para todo o espectro dos doentes e não apenas para um indicação restrita, porque, no final, quando o medicamento é colocado no mercado, é muito provavelmente apenas autorizado para a mesma

indicação restrita.

As entidades regulamentares com conhecimento muito limitado sobre a doença.

## **Aprendizagem**

Em retrospectiva, deveríamos ter começado mais cedo com a recolha de dados da História Natural. Quando se quer uma cura, a recolha de dados da História Natural não é "sexy", mas pode realmente ajudar a acelerar o processo de desenvolvimento do medicamento, reduzindo o tamanho do grupo placebo. Quando os dados da História Natural são recolhidos (e são propriedade) pelas organizações de doentes, estes podem ser utilizados por diferentes empresas.

Certifique-se que possui medições de resultado para todos os grupos. Começamos e financiamos iniciativas para desenvolver estas medições de resultados.

Aumentar a sensibilização entre as entidades regulamentares sobre a sua doença e as preferências dos doentes.

A3-DPP-V1.0

## **Anexos**