

# Doentes envolvidos – entre promotores e participantes

## Introdução

Exemplo da experiência pessoal de um doente a ser utilizada como uma interface entre promotores e participantes em ensaios clínicos. Realizado em doenças raras com a EURORDIS e a HIV / AIDS Act Up, Traitements & Recherche Thérapeutique (TRT-5) e o European AIDS Treatment group (EATG).

## Descrição do caso

Os números de ensaios clínicos, desenho, conduta, DSMB, análise e comunicação de resultados nos quais o defensor dos doentes esteve pessoalmente envolvido é de cerca de 77. Isto inclui ensaios com algumas centenas a alguns milhares de doentes.

Métodos:

- TRT-5: SOP aprovado pela national AIDS research agency (ANRS) de acordo com o qual todos os protocolos de ensaios clínicos em SIDA/VIH (incluindo doenças oportunistas), hepatites virais e outras doenças virais têm que ser discutidos com defensores dos doentes antes da sua submissão à comissão de ética, assim como análise de progresso de cada um ao longo de todo o ensaio clínico.
- Em paralelo, o TRT-5 também reuniu com promotores privados (indústria), mas de forma voluntária.
- EATG/Conselho Consultivo da Comunidade Europeia: entre 1996 e 2002, de forma voluntária, os ensaios clínicos realizados pela indústria ou organismos de investigação

- públicos (por exemplo, ensaio INITIO da HIV Connect).
- EURORDIS: Implementação da Charter for Clinical Trials in Rare Diseases (Carta para Ensaio Clínicos em Doenças Raras), assinada por sete empresas, uma das quais assinou um memorando de entendimento com as organizações de doentes relevantes (trabalhando juntos em dois ensaios clínicos e em um programa de uso compassivo).

## **Tipo de defensores dos doentes envolvidos**

- Doentes com experiência pessoal da doença.
- Doentes especialistas / defensores de doentes com bons conhecimentos sobre a doença, mas pouca experiência em I&D.
- Doentes especialistas / defensores de doentes com bons conhecimentos sobre a doença e boa experiência em I&D.
- Defensores de doentes sem conhecimentos sobre a doença e boa experiência em I&D.

## **Benefícios do envolvimento dos doentes**

Nenhuma avaliação sistemática dos processos e resultados nos métodos explicados acima.

No entanto, todo este processo tornou possível:

- Alterações significativas nos protocolos dos EC: A discussão sobre o índice terapêutico levou um promotor a adicionar um braço num ensaio de Fase III que testava uma dose que não tinha sido inicialmente proposta pelos investigadores. Esta dose acabou por ser a dose autorizada quando o medicamento foi autorizado.
- Alterações significativas no plano de desenvolvimento do produto: Foram adicionados e realizados com sucesso

ensaios que não tinham sido planejados pela empresa mas propostos por defensores dos doentes.

- Interrupção dos ensaios: Ensaios que foram autorizados e aprovados pelas comissões de ética foram finalmente interrompidos quando os defensores de doentes expressaram questões éticas após o ensaio ter iniciado.
- Escolha dos resultados relevantes: Nas doenças raras, quando tiver sido realizada anteriormente pouca ou nenhuma investigação clínica, é essencial ouvir os doentes para identificar / adaptar / criar resultados relevantes.

## **Desafios e obstáculos**

- Tabela de decisões e acompanhamento: É essencial para manter o controlo de todas as discussões, alterações de texto e propostas efetuadas, um bom secretariado gerido pelos doentes.
- Compromisso de confidencialidade: Documentos assinados são essenciais. Se não existirem documentos de confidencialidade assinados, não se reúna com o promotor, é perda de tempo.
- Informação privilegiada: Certifique-se de reduzir este risco, peça aos participantes que assinem um acordo para não utilizarem informações para comprar ou vender ações na bolsa.
- Consistência da opinião dada: Garanta um compromisso de longo prazo dos defensores dos doentes e um grupo de voluntários / pessoal com uma boa comunicação entre todos (ver também o primeiro ponto acima).
- Prevenção de conflitos de interesses: Transparência, partilha da agenda / atas da reunião com as autoridades regulamentares.
- Transparência com a comunidade de doentes em geral: Definir o que será discutido, acordar o que será confidencial e o que não será.
- Formação / orientação adequada.

# Aprendizagem

Com quem interagir exatamente? Para os promotores públicos, geralmente o investigador principal. Promotores privados podem significar (1) relações públicas e o departamento de marketing, (2) equipa de investigação, (3) uma mistura. Apenas (2) deve ser considerado.

Como garantir que os responsáveis pela tomada de decisões interagem com os defensores dos doentes? E não ser simplesmente um intermediário com pouca ou nenhuma capacidade para influenciar a gestão sénior do promotor?

Em ensaios internacionais, como coordenar com defensores dos doentes de todo o mundo?

Em ensaios de comparação direta ou desenhos multifatoriais onde é necessária cooperação entre concorrentes: de um modo geral não está a acontecer e ainda é muito necessário. Como melhorar isto?

O diálogo sobre I&D não é só sobre a obtenção de uma autorização de introdução no mercado e/ou participação. Como iniciar o diálogo sobre responsabilidade corporativa da empresa em geral?

Resultados dos EC e como informar os participantes dos ensaios ao mesmo tempo que os investigadores.

A3-promotores-participantes-V1

## Anexos