Pacienți implicați – Duchenne Parent Project

Introducere

Dezvoltarea unui tratament/unei terapii pentru boala Duchenne de către Duchenne Parent Project, în colaborare cu Universitatea din Leiden și Prosensa (partener din domeniul biotehnologiei) – GSK.

Descrierea cazului

Dezvoltarea unui tratament/unei terapii pentru distrofia musculară Duchenne.

Duchenne Parent Project s-a implicat în diferite aspecte ale proiectului:

- A finanțat cercetarea academică (Universitatea din Leiden) și biotehnologică (Prosensa).
- A finanțat studiul din Faza I b (injecție locală).
- S-a implicat în recrutarea și înregistrarea pacienților pentru studiile de monitorizare ulterioară.
- S-a implicat în identificarea standardelor de îngrijire medicală (necesare pentru studiile clinice).
- S-a implicat în dezvoltarea măsurilor legate de rezultate.
- A furnizat informații pacienților și familiilor acestora.
- A participat la discuțiile cu autoritățile de reglementare.

Tipurile de pacienți și susținători ai drepturilor pacienților implicați

- Pacienți/părinți cu experiență personală a bolii.
- Pacienți experți / susținători ai drepturilor pacienților cu o bună experiență atât a bolii, cât și a procesului de cercetare și dezvoltare.

Beneficiile implicării pacienților

Duchenne Parent Project (DPP) a participat la inițiativă încă din prima zi; fără DPP, proiectul de cercetare și monitorizare ulterioară probabil nu ar fi început.

În cele din urmă, „semnificația clinică” a medicamentelor pentru pacienți trebuie demonstrată, deci o metodă care începe de la pacienți este o abordare foarte bună a dezvoltării medicamentelor (din spital în laborator).

Pacienții sunt o forță motrice care poate accelera cercetarea și trecerea din laborator la pacient (sau în spitale).

Dificultățile și barierele

Colaborarea cu compania de biotehnologie a fost „ușoară”. Atunci când primul produs a fost preluat, însă, de către un mare producător de medicamente (GSK), colaborarea (de exemplu sub forma discuțiilor privind structura studiilor, măsurile privind rezultatele, recrutarea și alte politici) a devenit foarte dificilă, deoarece marii producători au reguli foarte stricte care interzic interacțiunea cu pacienții înainte de punerea pe piață a unui produs. Se justifică faptul de a avea companii care concep studii pentru toate tipurile de pacienți, nu doar pentru o indicație limitată, deoarece, la sfârșit, când produsul intră pe piață, acesta va fi, foarte probabil,

autorizat numai pentru indicația limitată respectivă.

Aceasta în condițiile în care autoritățile de reglementare au cunoștințe limitate privind bolile.

Concluzii

Privind retrospectiv lucrurile, ar fi trebuit să începem mai devreme colectarea datelor de istorie naturală a bolii. Atunci când se urmărește obținerea unui tratament, colectarea datelor de istorie naturală a bolii nu este prea atrăgătoare, însă poate contribui la accelerarea procesului de dezvoltare a medicamentului și poate reduce dimensiunile grupului care primește placebo. Atunci când datele de istorie naturală a bolii sunt colectate de organizații ale pacienților și se află în proprietatea acestora, ele pot fi utilizate de către companii diferite.

Asigurați-vă că aveți instrumente de măsurare a rezultatelor pentru toate grupurile. Am creat și finanțăm inițiative de dezvoltare a acestor instrumente de măsurare a rezultatelor.

Sporiți gradul de conștientizare de către autoritățile de reglementare a bolii dvs. și a preferințelor pacienților.

A3-DPP-V1.0

Atașamente