

Participación de pacientes: DevelopAKUre para ACU

Introducción

Este es un ejemplo de una asociación público-privada de diversos grupos internacionales del sector (Sobi), organizaciones de pacientes (AKU Society y ALCAP), hospitales (Royal Liverpool, Hospital Necker y National Institute of Rheumatic Diseases), instituciones universitarias (Universidad de Liverpool, Universidad de Siena, Institute of Molecular Physiology and Genetics) y pequeñas y medianas empresas (PYMES) (Nordic Bioscience, PSR y Cudos) dedicados a encontrar una cura para la alcaptonuria.

Descripción del caso

DevelopAKUre es una serie de tres estudios clínicos financiados mediante el programa FP7 de la Comisión Europea. El objetivo de estos estudios es investigar el fármaco nitisinona para encontrar pruebas de que funciona para el tratamiento de la alcaptonuria (ACU). El proyecto se compone de un estudio de la relación entre dosis y respuesta (SONIA1), un estudio de la eficacia teórica (SONIA2) para comparar la ausencia de tratamiento y la administración del tratamiento, y un estudio transversal (SOFIA) para determinar cuál es la mejor edad para iniciar el tratamiento. Estos estudios se realizan en tres centros de Europa (Reino Unido, Francia y Eslovaquia).

DevelopAKUre es un proyecto promovido por pacientes, en colaboración con AKU Society como asociado principal, para garantizar que las perspectivas de los pacientes se consideren en las fases de planificación y durante los estudios en curso.

La organización AKU Society se ocupa en la actualidad del reclutamiento y la asistencia a los pacientes, el desarrollo de documentos informativos para los pacientes y la promoción de la retención de pacientes. La organización AKU Society ha recaudado fondos adicionales mediante una campaña de financiación colectiva alojada en Indiegogo con el fin de poder ofrecer asistencia sanitaria de alto nivel durante todo el proyecto DevelopAKUre.

Además, la organización AKU Society está coordinando la divulgación del proyecto para garantizar que las actividades del proyecto sean compartidas con los pacientes y el público.

Más información en <https://akusociety.org/aku-clinical-trials/>.

Tipos de pacientes (defensores) involucrados

- Pacientes con experiencia personal de la enfermedad.
- Pacientes expertos o defensores de pacientes con buenos conocimientos especializados sobre la enfermedad pero poca experiencia en I+D.
- Pacientes expertos o defensores de pacientes con buenos conocimientos especializados sobre la enfermedad y mucha experiencia en I+D.

Ventajas de la participación de los pacientes

DevelopAKUre es un proyecto único. Se trata de un ensayo clínico promovido realmente por pacientes. Consideramos que podría ser un nuevo modelo en el ámbito de la investigación médica al contribuir a promover la participación de los pacientes en la planificación y el desarrollo de los ensayos clínicos, e introducir la idea de hacer partícipes a los

grupos de pacientes como asociados activos que pueden dirigir tareas como el reclutamiento de pacientes y la retención de pacientes.

La participación de los grupos de pacientes en la planificación de los ensayos clínicos ha mejorado la experiencia del paciente, desde la defensa de un proceso de reembolso de gastos más simplificado y la financiación del desplazamiento de los cuidadores hasta la realización de pruebas invasivas opcionales y la reducción del número de visitas a los centros de análisis.

Desafíos y obstáculos

1. Financiación: hemos dedicado varios años a intentar recaudar fondos para la investigación clínica. Finalmente, solicitamos y obtuvimos una financiación de 6 millones de € de la Comisión Europea. Debido a que la investigación médica es tan cara, consideramos improbable que los organismos nacionales pudieran conceder subvenciones de gran cuantía para la investigación de enfermedades raras.
2. Aspectos legales y éticos: la organización AKU Society gestiona la información para los pacientes, lo que requiere asesoramiento profesional sobre cuestiones legales o éticas. Contamos con la ayuda de otros asociados (PSR) y juntas de revisión para esta información.
3. Idioma: el mayor obstáculo para el reclutamiento de pacientes en Europa han sido los problemas con el idioma. Las traducciones han supuesto un coste añadido considerable para la producción de la información para los pacientes.
4. Asuntos regulatorios: estos asuntos se han resuelto mediante el asesoramiento externo principalmente por parte de nuestras pequeñas y medianas empresas, y el asesoramiento científico de la EMA.

Aprendizaje

Esperamos que aumenten los proyectos de investigación promovidos por pacientes en los que los pacientes estén involucrados en la planificación y el desarrollo de los estudios, y los grupos de pacientes desempeñen una función activa. Para nosotros, los grupos de pacientes son los que más se involucran a la hora de comprender cómo la enfermedad afecta a los pacientes, lo cual es una excelente opción para los asociados de la investigación. La formación adicional (por ejemplo, por parte de EUPATI) en colaboración con el sector farmacéutico y el ámbito universitario es necesaria para cumplir los requisitos del proceso de desarrollo de fármacos, éticos y legales de los ensayos. En el caso de muchos grupos de pacientes, es necesario animarlos a demostrar que su contribución es valiosa e importante para la investigación médica.

A3-DevelopAKUre-V1.0

Anexos