

# Participación de pacientes: Duchenne Parent Project

## Introducción

Desarrollo de una cura o un tratamiento para la distrofia muscular de Duchenne por parte de la asociación Duchenne Parent Project en colaboración con la Universidad de Leiden y Prosensa (asociado del ámbito de la biotecnología) – GSK.

## Descripción del caso

Desarrollo de una cura o un tratamiento para la distrofia muscular de Duchenne.

La asociación Duchenne Parent Project ha participado en diversos aspectos del proyecto:

- Ha financiado la investigación en la universidad (Leiden) y biotecnológica (Prosensa).
- Ha financiado el ensayo de fase I b (inyección local).
- Ha participado en el reclutamiento y los registros de pacientes para los ensayos de seguimiento.
- Ha participado en las normas asistenciales (necesarias para los ensayos clínicos).
- Ha participado en el desarrollo de criterios de valoración.
- Ha proporcionado información a familiares y pacientes.
- Debates regulatorios.

## Tipos de pacientes (defensores)

# **involucrados**

- Pacientes y padres con experiencia personal de la enfermedad.
- 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**

La asociación Duchenne Parent Project (DPP) formó parte de la iniciativa desde el primer día y, sin la ayuda de DPP, el proyecto de investigación y el seguimiento probablemente nunca habrían empezado.

Al final, se ha demostrado que los fármacos son de «trascendencia clínica» para los pacientes. Por consiguiente, empezar por los pacientes es un método adecuado para el desarrollo de fármacos (de la cabecera del paciente al laboratorio).

Los pacientes son la fuerza impulsora para agilizar la investigación y la transferencia del laboratorio al paciente (del laboratorio a la cabecera del paciente).

## **Desafíos y obstáculos**

La colaboración con la compañía de biotecnología fue «fluida». No obstante, cuando la «gran multinacional farmacéutica» GSK asumió el control del primer producto (debates sobre el diseño de los ensayos, criterios de valoración, reclutamiento y otras estrategias), el proceso se complicó bastante dado que la multinacional farmacéutica tiene normas estrictas que impiden la interacción con los pacientes antes de la comercialización de un producto. Las compañías deberían diseñar ensayos para

toda la variedad de pacientes y no solo para un pequeño perfil, ya que cuando el producto se comercializa al final es muy probable que solo esté autorizado para dicho pequeño perfil.

Las autoridades de registro sanitario tienen conocimientos muy limitados sobre la enfermedad.

## **Aprendizaje**

De forma retrospectiva, deberíamos haber empezado antes por la recopilación de datos de la evolución natural. Cuando se busca una cura, la recopilación de datos de la evolución natural puede no parecer «interesante», pero puede contribuir realmente a agilizar el proceso de desarrollo de fármacos y reducir el tamaño del grupo de placebo. Cuando los datos de la evolución natural los recopilan (y tienen en propiedad) las organizaciones de pacientes, las distintas compañías pueden hacer uso de ellos.

Asegúrate de disponer de criterios de valoración para todos los grupos. Hemos puesto en marcha y financiado iniciativas para desarrollar estos criterios de valoración.

Es necesario aumentar la concienciación sobre la enfermedad y las preferencias de los pacientes entre las autoridades de registro sanitario.

A3-DPP-V1.0

## **Anexos**