Participation des patients – DevelopAKUre pour l’AKU

Introduction

Exemple de partenariat public-privé composé de divers groupes internationaux issus de l’industrie (Sobi), d’organisations de patients (AKU Society et ALCAP), d’hôpitaux (Royal Liverpool University Hospital, Hôpital Necker et Institut national des maladies rhumatismales), d’universités (Universités de Liverpool et Sienne, Institute of Molecular Physiology and Genetics) et de PME (Nordic Bioscience, PSR et Cudos) pour guérir l’alcaptonurie (AKU).

Description de l'étude

DevelopAKUre est une série de trois essais cliniques, fondée par le programme FP7 de la Commission européenne. Ce programme vise à étudier le médicament appelé nitisinone afin d'évaluer son efficacité dans le traitement de l'alcaptonurie (AKU). Le projet comporte une étude dose-réponse (SONIA1), une étude d'efficacité (SONIA2) pour comparer l'absence de traitement et le traitement, et une étude croisée (SOFIA) pour déterminer l'âge idéal pour commencer le traitement. Les études sont menées sur trois sites en Europe (Royaume-Uni, France et Slovaquie).

DevelopAKUre est dirigé par les patients, avec AKU Society comme partenaire principal, afin de garantir la prise en compte des avis des patients aux étapes de planification, et tout au long des études. À présent, AKU Society dirige le recrutement et le support des patients, en élaborant des documents d'information pour les patients et en promouvant le maintien des patients. AKU Society a collecté des fonds

supplémentaires par le biais d'une campagne de financement participatif hébergée sur le site Indiegogo afin de pouvoir fournir un haut niveau de soin aux patients par le biais de DevelopAKUre.

AKU Society coordonne également la diffusion des informations pour le projet, afin de communiquer les activités du projet aux patients et au public.

Pour plus d'informations, visiter le site https://akusociety.org/aku-clinical-trials/

Types de patients (défenseurs des patients) impliqués

- Patients ayant une expérience personnelle de la pathologie
- Patients/défenseurs de patients experts ayant une bonne connaissance de la pathologie, mais peu d'expérience en recherche et développement
- Patients/défenseurs de patients experts ayant une bonne connaissance de la pathologie et une bonne expérience en recherche et développement

Bénéfices de la participation des patients

DevelopAKUre est un programme unique : une série d'essais cliniques véritablement dirigée par les patients. Nous pensons qu'il peut créer un nouveau paradigme dans la recherche médicale, en contribuant à promouvoir la participation des patients à la planification et la réalisation d'essais cliniques, ainsi que l'intérêt d'associer des groupes de patients en tant que partenaires actifs capables de conduire des missions telles que le recrutement et le maintien des patients.

La participation de groupes de patients à la planification des essais cliniques a amélioré l'expérience des patients sous divers aspects, qu'il s'agisse de la défense d'une procédure de remboursement des frais simplifiée et d'un financement des déplacements des soignants, comme du fait de rendre facultatifs les tests invasifs ou encore la réduction du nombre des visites aux centres de tests.

Obstacles et limites

1. Financement : nous avons consacré plusieurs années à tenter de collecter des financements pour la recherche clinique. Nous avons finalement sollicité la Commission européenne qui nous a alloué un financement de 6 millions d'euros. Compte tenu du coût extrêmement élevé de la recherche médicale, il nous semble peu probable que des organismes nationaux puissent fournir des subventions suffisamment importantes pour financer la recherche sur des maladies rares.
2. Lois/Éthique : AKU Society joue un rôle éminent dans l'information des patients, qui requiert la contribution de professionnels sur les aspects légaux et éthiques. Nous faisons appel à d'autres partenaires (PSR) et comités consultatifs pour cette contribution.
3. Langue : les problèmes de langues ont constitué le principal obstacle au recrutement en Europe. Les traductions ont représenté un coût supplémentaire considérable pour la production des informations destinées aux patients.
4. Problèmes réglementaires : ces problèmes ont été résolus grâce à la contribution d'acteurs extérieurs, principalement nos PME partenaires et des avis scientifiques fournis par l'EMA.

Enseignements

Nous espérons voir se développer une recherche davantage contrôlée par les patients, dans laquelle les patients participent à la planification et la réalisation des études et où les groupes de patients jouent un rôle actif. Pour nous, les groupes de patients sont les acteurs les mieux placés pour comprendre la manière dont la maladie affecte les patients, et donc les plus à même de choisir les partenaires pour la recherche. Il est nécessaire de fournir une formation supplémentaire (telle que celle dispensée par l'EUPATI) sur la collaboration avec les entreprises pharmaceutiques et les universités, le processus de développement des médicaments et les exigences éthiques et légales relatives aux essais cliniques. De nombreux groupes de patients ont besoin d'être encouragés et de voir que leur contribution est appréciée et importante pour la recherche médicale.

A3-DevelopAKUre-V1.0

Annexes