

# **Participation des patients – Projet Duchenne Parent Project**

## **Introduction**

Développement d'un traitement de la maladie de Duchenne par Duchenne Parent Project en collaboration avec l'université de Leyde et Prosensa (entreprise de biotechnologie partenaire) – GSK.

## **Description de l'étude**

Développement d'un traitement pour la dystrophie musculaire de Duchenne.

Duchenne Parent Project a participé à différents aspects du project :

- Financement de la recherche menée dans une université (Leyde) et une entreprise de biotechnologie (Prosensa)
- Financement de l'essai de phase I b (injection locale)
- Participation au recrutement et à la tenue des registres de patients dans les essais de suivi
- Participation à l'élaboration de normes de soin (requis pour les essais cliniques)
- Participation à la mise au point de mesures de résultats
- Fourniture d'informations aux familles et aux patients
- Débats réglementaires

# Types de patients (défenseurs des patients) impliqués

- Patients/parents ayant une expérience personnelle de la pathologie
- 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

Duchenne Parent Project (DPP) était partie prenante de cette initiative dès le début. Sans DPP, ce projet de recherche et son suivi n'auraient jamais pu être menés à bien.

Les médicaments se sont finalement avérés « cliniquement significatifs » pour les patients. Partir des patients est donc une manière efficace de mettre au point des médicaments (du lit à la paillasse).

Les patients constituent le principal moteur pour accélérer la recherche et le passage du laboratoire au patient (de la paillasse au lit).

## Obstacles et limites

La collaboration avec l'entreprise de biotechnologie a été « facile ». Toutefois, lorsque le premier produit a été repris par le grand groupe pharmaceutique GSK, la collaboration (telles que les discussions sur la conception de l'essai, les mesures de résultats, le recrutement et autres règles) est devenue très difficile, car le grand groupe pharmaceutique respecte des règles strictes pour ne pas interagir avec les patients avant la mise sur le marché d'un produit. D'obtenir des entreprises qu'elles conçoivent des essais pour l'éventail

complet des patients et non pas seulement pour des indications limitées, dans la mesure où une fois que le produit est mis sur le marché, il est, dans la plupart des cas, uniquement autorisé pour ces mêmes indications limitées.

Les agences de réglementation ont une connaissance très limitée de la maladie.

## **Enseignements**

Rétrospectivement, nous aurions dû commencer plus tôt la collecte des données d'histoire naturelle. Lorsque l'on recherche un traitement, la collecte des données d'histoire naturelle semble rébarbative, mais elle peut réellement contribuer à accélérer le développement du médicament et à réduire la taille du groupe placebo. Lorsque des données d'histoire naturelle sont recueillies (et détenues) par des organisations de patients, elles peuvent être utilisées par différentes entreprises.

Veiller à disposer de mesures de résultats pour tous les groupes. Nous avons lancé et financé des initiatives pour mettre au point ces mesures de résultats.

Sensibiliser les agences de régulation sur votre maladie et les préférences des patients.

A3-DPP-V1.0

## **Annexes**