Patientdelaktighet – DevelopAKUre för AKU

Inledning

Ett exempel på ett offentligt-privat samarbete med olika internationella grupper i branschen (Sobi), patientorganisationer (AKU Society och ALCAP), sjukhus (brittiska Royal Liverpool, franska Necker-sjukhuset och nationella institutet för reumatiska sjukdomar i Slovakien), den akademiska världen (universiteten i brittiska Liverpool och italienska Siena, institutet för molekylär fysiologi och genetik i Slovakien) och små och mellanstora företag (Nordic Bioscience, PSR och Cudos) för att bota alkaptonuri (AKU).

Beskrivning av fallet

DevelopAKUre är en serie om tre kliniska studier som finansieras av Europeiska kommissionens FP7-program.De ska undersöka om det finns evidens för att läkemedlet nitisinon fungerar för att behandla alkaptonuri (AKU).I projektet ingår en dosresponsstudie (SONIA1), en effektstudie (SONIA2) som jämför icke-behandling med behandling och en tvärsnittsstudie (SOFIA) för att bestämma i vilken ålder det är bäst att börja behandlingen.Studierna äger rum på tre platser i Europa (Storbritannien, Frankrike och Slovakien).

DevelopAKUre drivs av patienter, med AKU Society som huvudpartner, och säkerställer att patienternas perspektiv beaktas i planteringsstadierna och under de pågående studierna.AKU Society har nu huvudansvaret för patientrekrytering och stöd, och utvecklar dokument med patientinformation och arbetar med att få patienter att fullfölja studierna.AKU Society samlade in mer pengar genom en

crowdfunding-kampanj på Indiegogo för att kunna ge patientvård på hög nivå genom hela DevelopAKUre.

AKU Society samordnar även projektets spridning och ser till att projektaktiviteterna delas med patienter och allmänheten.

Mer information finns på https://akusociety.org/aku-clinical-trials/

Typer av delaktiga patienter/patientrepresentanter

- Patienter med personlig erfarenhet av sjukdomen.
- Expertpatienter/patientrepresentanter med god kunskap om sjukdomen men liten erfarenhet av FoU.
- Expertpatienter/patientrepresentanter med god kunskap om sjukdomen och bra erfarenhet av FoU.

Fördelarna med patientdelaktighet

DevelopAKUre är unikt:en helt igenom patientdriven klinisk prövning.Vi tror att det kan bana väg för ett nytt paradigm inom medicinsk forskning, så att patientdelaktighet främjas vid planering och genomförande av kliniska prövningar och att tanken på att göra patientgrupper delaktiga som aktiva partner som kan ta huvudansvaret för sådana uppgifter som patientrekrytering och fullföljande väcks.

När patientgrupper deltar i planeringen av kliniska prövningar har det förbättrat patienternas erfarenhet av allt från att efterfråga saker som en enklare process för ersättning av utgifter och finansering av anhörigvårdares resor till att göra invasiva tester frivilliga och minska antalet besök på testcentren.

Utmaningar och hinder

1. Finansiering:Vi ägnade flera år åt att försöka få fram medel till klinisk forskning.Så småningom ansökte vi om och fick finansering på 6 miljoner euro beviljat från Europeiska kommissionen.Eftersom medicinsk forskning är så dyr finner vi det inte sannolikt att nationella organ skulle kunna bevilja tillräckligt med medel för forskning om sällsynta sjukdomar.
2. Juridik/etik:AKU Society har huvudansvaret för patientinformation, vilket kräver professionell rådgivning om juridiska och etiska frågor.Vi förlitar oss på att våra partner (PSR) och granskningsnämnderna kan ge oss det underlaget.
3. Språk:Det största hindret för patientrekrytering i Europa har varit språkfrågor.I framtagningen av patientinformationen har översättningar kommit att bli en signifikant merkostnad.
4. Regulatoriska frågor:Sköts genom extern rådgivning, huvudsakligen våra små och medelstora företagspartner, samt vetenskapliga råd från EMA.

Lärdomar

Vi hoppas få se mer patientdriven forskning där patienterna är delaktiga i planeringen och genomförandet av studierna och där patientgrupper får en aktiv roll.För oss är patientgrupper de som bäst förstår hur sjukdomen påverkar patienterna och därför är de ett bra val av partner inom forskning.Det behövs mer utbildning (som från EUPATI) i hur man arbetar med läkemedelsindustrin och universiteten, hur läkemedelsutvecklingsprocessen ser ut och de etiska/juridiska krav som finns på prövningar.Många patientgrupper behöver uppmuntran som visar att deras bidrag är värdefulla och viktiga för den medicinska forskningen.

Bilagor