Patientdelaktighet – HIV DUET fas III-prövningar

Inledning

En fallrapport över patientdelaktighet om patientrepresentation i HIV DUET fas III-prövningar för en ny behandlingsregim med en kombination av två prövningsföreningar:TMC125 (etravirin) och TMC114 (darunavir).Konsultation mellan AIDS Treatment Activists Coalition Drug Development Committee (USA), European Community Advisory Board i European AIDS Treatment Group (ECAB EATG) och läkemedelsföretaget Tibotec (numera Janssen Therapeutics).

Beskrivning av fallet

Läkemedelsföretaget Tibotec (numera Janssen Therapeutics) utformade studierna DUET 1 och 2 under 2005. I DUET fas III-prövningarna ingick samtidig användning av TMC125 (etravirin) och TMC114 (darunavir) för behandlingserfarna patienter med hiv.Det som var unikt med prövningen var att föreningarna som användes inte hade licensierats vid tidpunkten för användning (2006).Det här var fösta gången som två ännu olicensierade föreningar användes i en prövning med behandlingserfarna patienter. Föreningarna användes dock endast i en prövningsarm, medan den andra prövningsarmen var placebokontrollerad.

En hivinfektion är en ännu obotlig men hanterbar sjukdom som måste behandlas med en relativt sträng regim av antiretrovirala läkemedel (ART) för att undvika resistensutveckling hos patienterna.Resistens mot vissa läkemedel eller klasser av läkemedel är vanligare hos behandlingserfarna patienter, som därför behöver nya eller mer

komplexa behandlingsregimer för att kontrollera virusreproduktionen i kroppen.

Patientgruppen hade en nyckelroll genom att de fick till stånd en prövning som – för första gången – innefattade samtidig användning av två oregistrerade föreningar.Standardförfarandet är att endast använda en ny förening i en prövning.

Målet med patientgruppens inblandning var att ta fram en ny potent, kombinerad antiretroviral behandling som kompletterande terapi för mycket behandlingserfarna patienter.Användning av den nya behandlingsregimen av humanitära skäl förespråkades under prövningen.

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 god erfarenhet av FoU.

Fördelarna med patientdelaktighet

Kommunikationen mellan patientgruppen och läkemedelsföretaget förbättrades avsevärt under processen.De inblandande patientorganisationerna kunde med framgång visa industriaktörerna och tillsynsmyndigheterna att patientgruppens kunskaper och erfarenheter var väsentliga för utvecklingsprocessen.Patientgruppens nyskapande tankesätt tillförde ett visst mått av ”mod” till utvecklingsprocessen och resulterade i att en ansökan lämnades in, vilket inte är brukligt när preliminära resultat från tidigare prövningar är tillräckligt övertygande (vid tidpunkten var det redan känt att de nya föreningarna var säkra och tolererades väl).

Det nya tillvägagångssättet ledde till varaktiga resultat och en ny nivå av förtroende bland de berörda parterna.Samarbetet mellan de två patientorganisationerna, på varsin sida av Atlanten, gick in i en ny, mer intensiv fas och ledde till ett stort utbyte av erfarenheter bland de som lever med hiv.DUET-studien resulterade i att ackumulerad multiresistens kunde överkommas för tusentals mycket behandlingserfarna patienter.

Utmaningar och hinder

Att tillhandahålla humanitär användning av nya föreningar till patienter med reducerade behandlingsalternativ var och förblir en utmaning.Att delta i kliniska prövningar är ett effektivt sätt för patienter att få tillgång till nya läkemedel.

Att använda två experimentella föreningar var inte praxis vid tillfället.Det krävdes mycket påverkansarbete (politiskt) av patientgruppen för att övertyga läkemedelsföretaget (och i sin tur den amerikanska livsmedels- och läkemedelsmyndigheten (FDA), Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) och de nationella behöriga myndigheterna) om att den nya strategin var något att satsa på.

Det hölls ett viktigt möte med ATAC-DDC, EATG/ECAB och läkemedelsföretaget i Antwerpen 2005. Syftet med mötet var att övertyga företaget om nyttan och behovet av en ny strategi för att hjälpa utsatta patienter.

En viktig utmaning fanns emellertid kvar – att läkemedelsföretaget bestämde sig för att utforma prövningen med en placebokontrollerad arm. Det betydde att 50 procent av patienterna fick ett placeboläkemedel i kombination med en prövningsförening i stället för båda de nya läkemedlen.

Lärdomar

Medverkan av patientorganisationer och expertpatienter i

läkemedelsutveckling är inte längre en unik företeelse.Trots detta behövs det fortfarande nya strategier och oavbrutet arbete, i kombination med patientgruppens kontinuerliga självutbildning och djupgående kunskaper, för att föra det komplicerade arbetet med forskning och utveckling av läkemedel framåt.

Patientorganisationerna måste samarbeta bättre med tillsynsmyndigheterna för att uppnå sina mål – i det här fallet att skapa tillgång till nya behandlingsalternativ.

Trots alla ansträngningar kunde patientorganisationerna endast uppnå en halv vinst –en placebokontrollerad arm förblev en del av de berörda prövningarna.Förbättringar inom det här området kunde dock uppnås under senare studier där patienter var delaktiga i utformningen.

Ännu bättre samordning mellan patientorganisationerna och ett mer regelbundet utbyte av erfarenheter, inom och utom ett specifikt sjukdomsområde, bör leda till mer effektiv patientdelaktighet inom läkemedelsforskningen.

Bilagor

Version?