

Patientdelaktighet – Mellan sponsorer och deltagare

Inledning

Ett exempel på en patients egen erfarenhet av att ha använts som kontaktperson mellan sponsorer och deltagare i kliniska prövningar som utfördes av EURORDIS och HIV/AIDS Act Up (om sällsynta sjukdomar), Traitements & Recherche Thérapeutique (TRT-5) samt European AIDS Treatment Group (EATG).

Beskrivning av fallet

Antalet kliniska prövningar där patientrepresentanten personligen var delaktig i utformningen, utförandet, den oberoende säkerhetskommittén, resultatanalysen och kommunikationen var cirka 77. Detta innefattar prövningar med några hundra till några tusen patienter.

Metoder:

- TRT-5: Standardrutiner godkända av den nationella organisationen för aidsforskning (ANRS), enligt vilka alla protokoll för kliniska prövningar om aids/hiv (inklusive opportunistiska sjukdomar), virushepatit och andra virussjukdomar måste diskuteras med patientrepresentanter innan de lämnas in till etikkommittén, och en granskning av framstegen för vart och ett av protokollen måste utföras medan de kliniska prövningarna pågår.
- Parallellt med detta träffade TRT-5 även privata sponsorer (industrin) men på frivillig basis.
- EATG/European Community Advisory Board: Från 1996 till 2002 genomfördes kliniska prövningar på frivillig basis

av industrin eller offentliga forskningsorganisationer (t.ex. INITIO-prövningen av HIV Connect).

- EURORDIS: Implementering av Charter for Clinical Trials in Rare Diseases som undertecknades av sju företag, varav ett hade undertecknat ett samförståndsavtal med tillämpliga patientorganisationer (som samarbetade om två kliniska prövningar och ett program för användning av humanitära skäl).

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.
- Patientrepresentanter utan kunskap om sjukdomen och god erfarenhet av FoU.

Fördelarna med patientdelaktighet

Ingen systematisk utvärdering utfördes av processerna och resultaten vid metoderna som beskrivs ovan.

Hela processen resulterade dock i följande:

- Påtagliga förändringar av protokoll för kliniska prövningar: Diskussion om terapeutiskt index fick en sponsor att lägga till en arm i en fas III-prövning för att testa en dos som inte föreslagits av prövarna från början. Denna dos visade sig bli den godkända dosen vid godkännandet.
- Påtagliga förändringar av produktutvecklingsplanen: Prövningar som inte hade planerats av företaget men föreslagits av patientrepresentanterna lades till och genomfördes med

framgång.

- Avbrott av prövningar: Prövningar som hade godkänts av etikkommittéer avbröts slutligen eftersom patientrepresentanter framförde etiska problem efter att prövningen hade startat.
- Val av relevant utfall: För sällsynta sjukdomar, när ingen eller lite klinisk forskning har genomförts tidigare, är det mycket viktigt att lyssna på patienterna för identifiering/anpassning/skapande av ett relevant utfall.

Utmaningar och hinder

- Förteckning över beslut och uppföljning: Det är väsentligt att hålla reda på alla diskussioner som förts, textändringar som gjorts och förslag som lagts – ett gott sekreterarskap som hanteras av patienterna.
- Sekretessåtagande: Undertecknade dokument är avgörande. Om inga sekretessdokument har undertecknats är det slöseri med tid att ens träffa sponsorn.
- Insideraffärer: Se till att minska risken för detta genom att låta deltagarna underteckna ett avtal om att de inte ska använda informationen för att köpa eller sälja aktier på börsen.
- Konsekventa bedömningar: Säkerställ ett långsiktigt engagemang av patientrepresentanterna och se till att det finns en pool med frivilliga/personal som har lätt att kommunicera med varandra (se även första punkten ovan).
- Förebyggande av intressekonflikter: Transparens – dela dagordning/protokoll för möten med tillsynsmyndigheter.
- Transparens med hela patientgruppen: Definiera vad som ska diskuteras, kom överens om vad som ska vara sekretessbelagt och vad som inte ska vara det.
- Lämplig utbildning/mentorskap.

Lärdomar

Exakt vem ska man samverka med? För offentliga sponsorer är det vanligtvis huvudprövaren. Privata sponsorer kan innebära (1) PR- och marknadsföringsavdelning, (2) forskningsteam, (3) en blandning. Endast (2) ska övervägas.

Hur ser man till att beslutsfattarna samarbetar med patientrepresentanterna? Och att de inte bara fungerar som mellanhand med liten eller ingen möjlighet att påverka sponsorns styrelse?

Hur samordnar man patientrepresentanterna runtom i världen vid internationella prövningar?

Jämförelser mellan olika parter eller prövningar med multifaktoriell utformning där samarbete krävs mellan konkurrenter: Detta är mycket ovanligt, trots att det finns ett stort behov. Hur kan det förbättras?

En dialog om FoU handlar inte bara om att få godkännande för försäljning och/eller ersättning. Hur påbörjar man en dialog om företagets övergripande ansvar?

Resultat av kliniska prövningar och hur prövningsdeltagarna informeras samtidigt som prövarna.

A3-sponsors-participants-V1

Bilagor