

# **Patientdelaktighet – projektet Duchenne-förälder**

## **Inledning**

Utveckling av ett botemedel/en behandling mot Duchenne, av projektet Duchenne-förälder (Duchenne Parent Project) i samarbete med Leidens universitet och Prosensa (biotechpartner) – GSK.

## **Beskrivning av fallet**

Utveckling av ett botemedel/en behandling mot Duchennes muskeldystrofi.

Projektet Duchenne-förälder deltog i olika aspekter av projektet:

- Finansierade forskning av universitet (Leiden) och biotech (Prosensa).
- Finansierade fas I b-prövningen (lokal injektion).
- Deltog i arbetet med rekrytering och patientregister till uppföljningsprövningar.
- Deltog i arbetet med vårdstandarder (krävs för kliniska prövningar).
- Deltog i utvecklingen av utfallsmått.
- Försåg familjer och patienter med information.
- Regulatoriska diskussioner.

## **Typer av delaktiga patienter/patientrepresentanter**

- Patienter/föräldrar med erfarenhet av sjukdomen.

- Expertpatienter/patientrepresentanter med god kunskap om sjukdomen och bra erfarenhet av FoU.

## **Fördelarna med patientdelaktighet**

Projektet Duchenne-förälder (DPP) var en del av initiativet från dag ett. Utan DPP hade forskningsprojektet och uppföljningen antagligen aldrig blivit av.

Till syvende och sist måste läkemedel ha en bevisad "klinisk nytta" för patienterna, så att börja med patienterna är ett mycket bra sätt att utveckla läkemedel på (klinik till laboratorium).

Patienterna är drivkraften som snabbar på forskning och omsättning från laboratoriet till patienten (laboratorium till klinik).

## **Utmaningar och hinder**

Samarbetet med biotechföretaget var "enkelt". Men när den första produkten togs över av läkemedelsjätten GSK blev samarbetet (som diskussioner om utformningen av prövningar, utfallsmått och rekrytering och andra policyer) mycket svårt eftersom läkemedelsjättarna har strikta regler om att inte interagera med patienter innan en produkt har kommit ut på marknaden. Det gäller att få företag att utforma prövningar för hela spektrumet av patienter och inte bara för en smal indikation, för när produkten kommer ut på marknaden är det mycket troligt att den bara är godkänd för samma smala indikation.

Tillsynsmyndigheter som har mycket begränsad kunskap om sjukdomen.

# Lärdomar

Så här i efterhand borde vi ha börjat tidigare med insamlingen av naturhistoriska data. När du önskar ett botemedel låter inte insamling av naturhistoriska data särskilt lockande, men det kan verkligen hjälpa till att snabba på processen för utvecklingen av ett läkemedel, att få ner storleken på placebogrupper. När naturhistoriska data samlas in (och ägs) av patientorganisationer kan de användas av olika företag.

Se till att du har utfallsmått för alla grupper. Vi startade och finansierade initiativ för att utveckla dessa utfallsmått.

Öka medvetenheten bland tillsynsmyndigheter om vår sjukdom och patienternas önskemål.

A3-DPP-V1.0

# Bilagor