

Patientenbeteiligung

DevelopAKUre für AKU

—

Einleitung

Ein Beispiel für eine öffentlich-private Partnerschaft von verschiedenen internationalen Gruppen in der Industrie (Sobi), Patientenorganisationen (AKU Gesellschaft und ALCAP), Krankenhäusern (Royal Liverpool, Hospital Necker und National Institute of Rheumatic Diseases), der Wissenschaft (die Universitäten Liverpool und Siena, Institute of Molecular Physiology and Genetics) und kleinen und mittelständischen Unternehmen (KMUs) (Nordic Bioscience, PSR und Cudos), zur Heilung von Alkaptonurie (AKU).

Beschreibung des Falles

DevelopAKUre ist eine Reihe von drei klinischen Studien, finanziert durch das Programm FP7 der Europäischen Kommission. Untersucht wird das Arzneimittel Nitisinon, um Wirksamkeitsnachweise bei der Behandlung von Alkaptonurie (AKU) zu erbringen. Das Projekt umfasst eine Dosis-Wirkungs-Studie (SONIA1), eine Wirksamkeitsstudie (SONIA2), um keine Behandlung mit der Behandlung zu vergleichen, und eine Querschnittsstudie (SOFIA), um das beste Alter für den Beginn der Behandlung zu bestimmen. Die Studien werden an drei Zentren in Europa durchgeführt (Großbritannien, Frankreich und der Slowakei).

DevelopAKUre wird von Patienten geführt, mit der AKU Gesellschaft als Hauptpartner, unter der Gewährleistung, dass die Ansichten der Patienten in den Planungsphasen, aber auch in den laufenden Studien berücksichtigt wurden. Die AKU Gesellschaft leitet jetzt die Rekrutierung und Unterstützung

von Patienten, erstellt Dokumente zur Patienteninformation und fördert den Verbleib der Patienten in der Studie. Dank einer Crowdfunding-Kampagne auf Indiegogo konnte die AKU Gesellschaft zusätzliche Mittel aufbringen, um durch DevelopAKUre Patientenversorgung auf hohem Niveau zu bieten.

Die AKU Gesellschaft koordiniert auch die Informationsverbreitung für das Projekt und sorgt dafür, dass Patienten und die Öffentlichkeit gleichermaßen über Projektaktivitäten informiert werden.

Weitere Informationen finden Sie unter <https://akusociety.org/aku-clinical-trials/>

Typen von beteiligten Patienten (vertretern)

- Patienten mit persönlicher Krankheitserfahrung.
- Patientenexperten/Patientenvertreter mit guten Fachkenntnissen über die Erkrankung, jedoch wenig Erfahrung im Bereich F&E.
- Patientenexperten/Patientenvertreter mit guten Fachkenntnissen über die Erkrankung und umfassender Erfahrung im Bereich F&E.

Vorteile der Patientenbeteiligung

DevelopAKUre ist einzigartig: es ist eine rein patientengeführte klinische Studie. Wir sind überzeugt, dass es ein neues Paradigma in der medizinischen Forschung schaffen könnte, indem es die Patientenbeteiligung bei der Planung und Durchführung von klinischen Studien fördert, und durch die Einführung der Idee der Einbeziehung von Patientengruppen als aktive Partner, die bei Aufgaben wie der Rekrutierung von Patienten und bei der Patientenbindung eine führende Rolle spielen können.

Die Beteiligung von Patientengruppen an der Planung von klinischen Studien hat die Patientenerfahrungen verbessert: vom Engagement für ein schlankeres Kostenerstattungsverfahren und für die Finanzierung der Reisekosten von Betreuern zur Freistellung von invasiven Tests und zur Verringerung der Anzahl der Besuche in Testzentren.

Herausforderungen und Hindernisse

1. Finanzierung: Wir haben jahrelang versucht, Mittel für die klinische Forschung aufzubringen. Schließlich stellten wir einen Antrag und gewannen eine Finanzierung in der Höhe von 6 Mio. € von der Europäischen Kommission. Da medizinische Forschung sehr teuer ist, halten wir es für unwahrscheinlich, dass nationale Stellen größere Zuschüsse für die Erforschung seltener Erkrankungen gewähren könnten.
2. Gesetzliche / ethische Aspekte: Die AKU Gesellschaft ist führend bei der Patienteninformation, für die es professioneller Beratung zu rechtlichen und ethischen Bedenken bedarf. Wir verlassen uns auf andere Partner (PSR) und Prüfungskommissionen in Bezug auf solche Anregungen.
3. Sprache: Das größte Hindernis bei der Rekrutierung von Patienten in Europa waren die Sprachprobleme. Übersetzungen haben erhebliche Kosten bei der Produktion von Patienteninformationen verursacht.
4. Zulassungsrechtliche Fragen: Wurden zum Großteil durch externe Beratung in erster Linie durch unsere kleinen und mittleren Unternehmenspartner und wissenschaftlichen Gutachten der EMA gelöst.

Erkenntnisse

Wir hoffen künftig auf mehr patientengeführte Forschung, bei der die Patienten in die Planung und Durchführung von Studien

eingebunden sind und Patientengruppen eine aktive Rolle spielen. Aus unserer Sicht verstehen Patientengruppen am besten, wie sich die Erkrankung auf einen auswirkt. Das macht sie zu wertvollen Partnern in der Forschung. Es sind weitere Schulungen (wie beispielsweise durch EUPATI) im Umgang mit der pharmazeutischen Industrie und der Wissenschaft, dem Arzneimittelenwicklungsprozess und ethischen/rechtlichen Anforderungen von Studien erforderlich. Viele Patientengruppen bedürfen der Ermutigung, damit sie einen Beitrag leisten, der geschätzt wird und für die medizinische Forschung wichtig ist.

A3-DevelopAKUre-V1.0

Anlagen