

# **Patientenbeteiligung Duchenne Elternprojekt**

–

## **Einleitung**

Entwicklung eines Arzneimittels / einer Behandlung für Duchenne, durch das Duchenne Elternprojekt, in Zusammenarbeit mit der Universität Leiden und Prosensa (Biotech-Partner) – GSK.

## **Beschreibung des Falles**

Entwicklung eines Arzneimittels / einer Behandlung für die Duchenne Muskeldystrophie.

Das Duchenne Elternprojekt war an verschiedenen Aspekten des Projekts beteiligt:

- Finanzierung der Forschung an der Universität Leiden und im Bereich Biotech (Prosensa).
- Finanzierung der Phase-Ib-Studie (lokale Injektion).
- Beteiligung an der Rekrutierung und in Patientenregistern für die Folgestudien.
- Beteiligung an Pflegestandards (erforderlich für klinische Studien).
- Beteiligung an der Entwicklung von Ergebnismessungen.
- Zurverfügungstellung von Informationen für Familien und Patienten.
- Behördliche Diskussionen.

**Typen von beteiligten**

# Patienten (vertretern)

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

## Vorteile der Patientenbeteiligung

Das Duchenne Elternprojekt (DPP) war von Anfang an Teil der Initiative. Ohne DPP wären das Forschungsprojekt und die Folgestudien vermutlich nie realisiert worden.

Am Ende muss nachgewiesen werden, dass Arzneimittel für die Patienten „klinisch relevant“ sind, sodass es in der Arzneimittelentwicklung ein sehr guter Ansatz ist, bei den Patienten zu beginnen („bed to bench“).

Die Patienten sind die treibende Kraft, die die Forschung und den Austausch zwischen Labor und Patient („bench to bed“) beschleunigen.

## Herausforderungen und Hindernisse

Die Zusammenarbeit mit dem Biotech-Unternehmen war 'einfach'. Als jedoch das erste Produkt vom Pharma-Riesen GSK übernommen wurde, gestaltete sich die Zusammenarbeit (wie etwa Diskussionen über Studiendesign, Ergebnismessungen, Rekrutierung und andere Richtlinien) als sehr schwierig, da der Pharma-Riese strengen Regeln unterliegt, die eine Interaktion mit Patienten vor der Markteinführung eines Produktes verbieten. Damit Unternehmen Studien für das gesamte Spektrum der Patienten, und letztendlich nicht nur für eine kleine Gruppe gestalten, ist das Produkt höchstwahrscheinlich nur für die gleiche kleine Gruppe zugelassen, wenn es auf den Markt kommt.

Die Regulierungsbehörden haben sehr wenig Kenntnisse über die Erkrankung.

## **Erkenntnisse**

Rückblickend betrachtet hätten wir mit der Erhebung von Daten für die Verlaufstudie früher beginnen sollen. Wenn man ein Arzneimittel benötigt, klingt die Erhebung von Daten für die Verlaufstudie nicht gerade verlockend, aber es kann tatsächlich helfen, den Prozess der Arzneimittelentwicklung zu beschleunigen und die Größe der Placebogruppe zu reduzieren. Wenn Daten für die Verlaufstudie gesammelt und im Besitz von Patientenorganisationen sind, können sie von verschiedenen Unternehmen genutzt werden.

Es sollte gewährleistet werden, dass Ergebnismessungen für alle Gruppen zur Verfügung stehen. Wir starteten Finanzierungsinitiativen, um diese Ergebnismessungen zu entwickeln.

Bei den Regulierungsbehörden sollte eine Bewusstseinsbildung für die Erkrankung und die Präferenzen der Patienten stattfinden.

A3-DPP-V1.0

## **Anlagen**