Patienter, der er engageret i DevelopAKUre mod AKU

Introduktion

Et eksempel på et offentligt-privat partnerskab mellem forskellige internationale koncerner i industrien (Sobi), patientorganisationer (AKU Society og ALCAP), hospitaler (Royal Liverpool, Hospital Necker og National Institute of Rheumatic Diseases), den akademiske verden (Universiteterne i Liverpool og Siena, Institute of Molecular Physiology and Genetics) samt mindre og mellemstore virksomheder– (Nordic Bioscience, PSR og Cudos) med henblik på at helbrede alkaptonuri (AKU).

Beskrivelse af casen

DevelopAKUre er en serie på tre kliniske undersøgelser, der er finansieret via Europa-Kommissionens FP7-program. Formålet er at undersøge lægemidlet nitisinon for at finde dokumentation for, om det virker til behandling af alkaptonuri (AKU). Projektet omfatter en dosis-virkningsundersøgelse (SONIA1), en virkningsundersøgelse (SONIA2) til sammenligning af ikke-behandling med behandling og en tværgående undersøgelse (SOFIA) til fastlæggelse af den bedste alder for påbegyndelse af behandling. Undersøgelserne finder sted på tre centre i Europa (Storbritannien, Frankrig og Slovakiet).

DevelopAKUre er patientstyret med foreningen AKU Society som en førende partner. Dette giver sikkerhed for, at der blev taget højde for patientsynspunkter på planlægningsstadiet og ligeledes i de igangværende undersøgelser. AKU Society forestår nu patientrekruttering og -støtte, udarbejder dokumenter med patientinformation og sikrer fastholdelse af

patienter. AKU Society skaffede yderligere finansiering via en crowdfunding-kampagne på Indiegogo for at kunne yde et højt niveau af patientpleje gennem hele DevelopAKUre-projektet.

AKU Society koordinerer også udbredelsen af projektet og sikrer, at projektaktiviteter bliver delt med patienter og offentligheden.

Få mere at vide på https://akusociety.org/aku-clinical-trials/

Type(r) af inddragede patienter/patientrepræsentanter

- Patienter med personlig sygdomserfaring.
- Patienteksperter/patientrepræsentanter med ekspertviden om sygdommen, men med lille erfaring inden for F&U.
- Patientekspert/patientrepræsentant med ekspertviden om sygdommen og med god erfaring inden for F&U.

Fordele ved patientinddragelse

DevelopAKUre er enestående: et virkeligt patientstyret klinisk forsøg. Vi tror på, at det kan skabe et nyt paradigme i medicinsk forskning og være med til at støtte inddragelsen af patienter i planlægningen og gennemførelsen af kliniske forsøg samt indføre ideen om inddragelse af patientgrupper som aktive partnere, der kan forestå opgaver som rekruttering og fastholdelse af patienter.

Inddragelsen af patientgrupper i planlægningen af de kliniske forsøg har forbedret patientoplevelsen lige fra opfordring til en mere smidig proces for refundering af udgifter og betaling af omsorgspersoners rejseudgifter til valgfrihed ved invasive test og reduktion af antallet af besøg på testcenteret.

Udfordringer og barrierer

1. Finansiering: Vi har i flere år forsøgt at opnå finansiering til klinisk forskning. Til sidst ansøgte vi Europa-Kommissionen om finansiering og fik 6 millioner euro. Da medicinsk forskning er så omkostningstung, fandt vi det ikke sandsynligt, at nationale organer kunne give tilstrækkeligt store bevillinger til forskning i sjældne sygdomme.
2. Jura/etik: AKU Society er førende inden for patientinformation, som kræver professionel rådgivning om juridiske og etiske problemstillinger. I den forbindelse er vi afhængige af bidrag fra andre partnere (PSR) og ekspertgrupper.
3. Sprog: Den største barriere for rekruttering af patienter i Europa har været sprogproblemer. Oversættelse er en betydelig ekstraomkostning i udarbejdelsen af patientinformation.
4. Regulatoriske problemer: Løst via ekstern rådgivning især fra vores mindre og mellemstore virksomhedspartnere samt videnskabelig rådgivning fra EMA.

Erfaringer

Vi håber, at vi kommer til at se mere patientstyret forskning, hvor patienter inddrages i planlægning og gennemførelse af undersøgelser, og hvor patientgrupper får en aktiv rolle. Som vi ser det, har patientgrupper den bedste forudsætning for at forstå, hvordan sygdommen påvirker patienterne, og dermed et godt udgangspunkt for at vælge forskningspartnere. Der er behov for yderligere uddannelse (f.eks. fra EUPATI) i at samarbejde med lægemiddelindustrien og den akademiske verden, i udviklingsprocessen for lægemidler og i etiske/juridiske krav til forsøg. Mange patientgrupper har brug for opmuntring, som viser, at deres bidrag er værdsat og vigtigt for den medicinske forskning.

Bilag