

Patientinddragelse – HIV DUET fase III-forsøg

Introduktion

En case-rapport om patientinddragelse i form af patientrepræsentation i HIV DUET fase III-forsøgene, som undersøger et nyt behandlingsregime, hvor der anvendes en kombination af to forsøgsstoffer: TMC125 (etravirin) og TMC114 (darunavir). Høring mellem AIDS Treatment Activists Coalition Drug Development Committee (USA), European Community Advisory Board under European AIDS Treatment Group (ECAB EATG) og medicinalvirksomheden Tibotec (nu Janssen Therapeutics).



Hvornår finder det sted? – Fase III

Beskrivelse af casen

Den lægemiddeludviklende virksomhed Tibotec (nu Janssen Therapeutics) designede DUET 1 & 2-forsøgene i 2005. DUET fase III-forsøgene omfattede samtidig brug af TMC125 (etravirin) og TMC114 (darunavir) hos en hiv-behandlingserfaren population. Det unikke ved forsøget var, at begge de anvendte stoffer ikke havde opnået markedsføringstilladelse på anvendelsestidspunktet (2006). Det var første gang, at to stoffer, der endnu ikke havde fået markedsføringstilladelse,

blev brugt i en kontekst med behandlingserfaring, selv om det kun var i den ene arm, mens forsøgets anden arm var placebokontrolleret.

Hiv-infektion er en stadig uhelbredelig, men kontrollerbar sygdom, der kræver et relativt strengt regime med antiretroviral medicin (ART) til patienterne for at undgå resistens. Resistens over for visse lægemidler eller lægemiddelklasser er mere almindelig hos behandlingserfarne patienter, som derfor har brug for nye eller mere komplekse regimer for at holde virusreproduktionen i kroppen nede.

Patientsamfundet spillede en nøglerolle i opnåelsen af, at et forsøg – for første gang – kom til at omfatte samtidig brug af to ikkeregistrerede stoffer. Standardproceduren er at anvende ét nyt stof i et forsøg.

Formålet med dette indgreb fra patientsamfundets side var at sikre, at en stærk ny ART-kombination er tilgængelig som redningsbehandling til stærkt behandlingserfarne patienter. Patientsamfundet var fortalere for, at det nye behandlingsregime skulle kunne anvendes med særlig udleveringstilladelse gennem forsøget.

Type(r) af inddragede patienter/patientrepræsentanter

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

Fordele ved patientinddragelse

Høringen mellem patientsamfundet og den lægemiddeludviklende virksomhed udviklede sig betydeligt under denne proces. Det

lykkedes de involverede patientforeninger at påvise over for industrien og lægemiddelmyndighederne, at patientsamfundets viden og erfaring kan give et væsentligt input til udviklingsprocessen. Patientsamfundets innovative tilgang tilførte udviklingsprocessen en vis grad af "mod" til at anvende ukonventionelle strategier, når de foreløbige resultater fra tidligere forsøg er overbevisende nok (på dette tidspunkt var det allerede kendt, at begge nye stoffer var sikre og veltolererede).

Denne nye tilgang førte til varige resultater og tillid mellem de involverede interessenter. Samarbejdet mellem to patientforeninger fra begge sider af Atlanten gik ind i en ny og mere intensiv fase, og dermed blev der mulighed for at udveksle erfaringer mellem grupper af personer, der lever med hiv. DUET-forsøget resulterede i, at man overvandt akkumuleret multiresistens (MDR) for tusinder af kraftigt forbehandlede patienter.

Udfordringer og barrierer

At sørge for anvendelse af nye stoffer med særlig udleveringstilladelse til patienter med reducerede behandlingsmuligheder var og er stadig en udfordring. Deltagelsen i kliniske forsøg er et effektivt redskab til, at patienterne kan få adgang til nye lægemidler.

Brugen af to forsøgsstoffer var ikke almindelig praksis. Det var nødvendigt med en stærk (politisk) indsats fra patientsamfundets side for at overbevise den lægemiddeludviklende virksomhed (og sidenhen den amerikanske Food and Drug Administration (FDA), Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA) og de nationale kompetente myndigheder (NCA'erne)) om denne nye strategi.

Der blev holdt et vigtigt møde med ATAC-DDC, EATG/ECAB og medicinalvirksomheden i Antwerpen i 2005. Det specifikke formål med mødet var at overbevise virksomheden om

hensigtsmæssigheden og nødvendigheden af en ny tilgang til at hjælpe patienter, der har behov for det.

En af de største udfordringer var dog, at medicinalvirksomheden havde besluttet at designe forsøget med en placebokontrolleret arm, hvilket betød, at 50 % af patienterne fik placebo + et forsøgsstof i stedet for begge nye lægemidler.

Erfaringer

Inddragelse af patientforeninger og patienteksperter i udviklingen af lægemidler er ikke længere et særsyn. Det er dog nødvendigt med nye strategier og en uafbrudt arbejdsindsats, suppleret med løbende selvuddannelse og et strengt kendskab til området fra patientsamfundets side, for at navigere på det komplekse felt, som forskning og udvikling af lægemidler er.

Der kræves et mere intensivt samspil med lægemiddelmyndighederne for at løfte de politiske mål og det pres, som patientforeningerne ønsker at udøve for at nå deres mål, i dette tilfælde tilgængeligheden af nye behandlingsmuligheder.

På trods af alle deres bestræbelser lykkedes det kun patientforeningerne at opnå et delvist resultat, eftersom en placebokontrolleret arm forblev en del af de pågældende forsøg. Forbedringer på dette område kunne dog opnås ved senere forsøgsdesign, der blev udviklet med patientinddragelse.

Også en bedre samordning mellem patientforeningerne og en mere regelmæssig erfaringsudveksling inden for og uden for et specifikt sygdomsområde burde forbedre effektiviteten og virkningen af patientinddragelse i forskning.

Bilag

Version??