Pazienti coinvolti – tra sponsor e partecipanti

Introduzione

Un esempio riguardante l'esperienza personale di un paziente utilizzato come interfaccia tra sponsor e partecipanti a uno studio clinico. Si sta verificando sia nelle malattie rare con EURORDIS e HIV/AIDS Act Up, Traitements & Recherche Thérapeutique (TRT-5) che con il Gruppo europeo sul trattamento dell'AIDS (EATG, European AIDS Treatment group).

Descrizione del caso

Il numero di studi clinici nel cui disegno, conduzione, DSMS (Data Stream Management System, sistema di gestione del flusso di dati), analisi dei risultati e comunicazione il difensore dei pazienti è stato coinvolto personalmente è di circa 77. Tale numero include sperimentazioni con un numero di pazienti che vanno da alcune centinaia ad alcune migliaia.

Metodi:

- TRT-5: SOP (Standard Operative Procedure, procedura operativa standard) approvata dall'agenzia nazionale per la ricerca dell'AIDS (ANRS, AIDS research agency) secondo cui tutti i protocolli di studi clinici nell'ambito dell'AIDS/HIV (comprese malattie opportunistiche), epatite virale e altre malattie virali devono essere discussi con i difensori dei pazienti prima della loro presentazione al comitato etico e valutazione dei progressi per ciascuno di essi per tutto il corso degli studi clinici.
- In parallelo TRT-5 si è anche incontrata con sponsor

privati (industria) ma su base volontaria.
- EATG/Comitato consultivo della comunità europea (European Community Advisory Board): dal 1996 al 2002, su base volontaria, studi clinici condotti dall'industria e da organizzazioni pubbliche di ricerca (ad esempio, lo studio INITIO da parte di HIV Connect).
- EURORDIS: implementazione della Carta per gli studi clinici nelle malattie rare firmata da sette aziende, una delle quali ha firmato un memorandum d'intesa con importanti organizzazioni di pazienti (collaborando in due studi clinici e in un programma relativo all'uso compassionevole).

Tipo/i di (difensori di) pazienti coinvolti

- Pazienti con esperienza personale di malattia.
- Pazienti esperti/difensori dei pazienti con buona competenza riguardante la malattia, ma poca esperienza in R&D (Research and Development, ricerca e sviluppo).
- Pazienti esperti/difensori dei pazienti con buona competenza riguardante la malattia e buona esperienza in R&D (Research and Development, ricerca e sviluppo).
- Difensori dei pazienti con nessuna competenza riguardante la malattia e buona esperienza in R&D (Research and Development, ricerca e sviluppo).

Benefici del coinvolgimento del paziente

Nessuna valutazione sistematica dei processi e dei risultati nei metodi spiegati sopra.

Tuttavia tutto questo processo ha reso possibile i seguenti risultati:

- Modifiche sostanziali ai protocolli TAC: La discussione sull'indice terapeutico ha portato uno sponsor ad aggiungere un braccio a uno studio di Fase III studiando una dose che non era stata proposta inizialmente dagli sperimentatori. Tale dose si è dimostrata essere la dose autorizzata.
- Modifiche sostanziali al piano di sviluppo del prodotto: Le sperimentazioni che non erano state pianificate dall'azienda ma proposte da difensori dei pazienti sono state aggiunte e condotte con successo.
- Interruzione degli studi: Le sperimentazioni che erano state autorizzate e approvate da comitati etici sono state infine interrotte quando i difensori dei pazienti hanno espresso problematiche etiche dopo che lo studio era iniziato.
- Scelta dell'outcome pertinente: per le malattie rare, quando non è stata condotta alcuna ricerca in precedenza, è importante ascoltare i pazienti al fine di identificare/adattare/creare un outcome pertinente.

Sfide e ostacoli

- Tabella decisionale e di follow-up: è fondamentale tenere traccia di tutte le discussioni, modificazioni ai testi e proposte fatte – una segreteria efficiente gestita dai pazienti.
- Impegno alla riservatezza: I documenti firmati sono essenziali. se non è stato firmato alcun documento relativo alla riservatezza, non incontrare lo sponsor, è uno spreco di tempo.
- Insider trading: garantire che tale rischio sia ridotto, far sì che i pazienti firmino un accordo contro l'utilizzo di informazioni al fine di acquistare o vendere azioni in borsa.
- Stabilità delle opinioni fornite: assicurare un impegno di lungo termine da parte dei difensori dei pazienti e un gruppo di volontari/personale con una buona

comunicazione tra tutte la parti (vedere anche il primo punto sopra).
- Prevenzione di conflitti d'interesse: trasparenza, condivisione dell'ordine del giorno/del verbale dell'incontro con gli enti di regolamentazione.
- Trasparenza con la comunità dei pazienti nel suo insieme: definizione di ciò che verrà discusso, accordo su ciò che sarà riservato e ciò che non lo sarà.
- Formazione/Tutoraggio adeguati.

Apprendimento

Con chi interagire di preciso? Per gli sponsor pubblici di solito lo sperimentatore principale. Per sponsor privati può voler dire (1) reparto di pubbliche relazioni e di marketing, (2) team di ricerca, (3) un mix di questi. Solo (2) devono essere presi in considerazione.

In che modo far sì che i decisori interagiscano con i difensori dei pazienti? E non siano semplicemente un intermediario con poco se non alcun potere di influenzare i dirigenti dello sponsor?

Per studi internazionali, in che modo coordinare i difensori in tutto il mondo?

Confronti diretti o studi di disegno multifattoriale dove è necessaria la cooperazione tra concorrenti: di solito questo non si verifica, tuttavia è altamente necessario. Come migliorare?

Il dialogo su R&D non riguarda soltanto ottenere un'autorizzazione all'immissione in commercio e/o un rimborso. In che modo aprire un dialogo sulla responsabilità delle aziende in generale?

Risultati della TAC e come informare i partecipanti agli studi contemporaneamente agli sperimentatori.

Allegati