

# **Pazienti consapevoli – DevelopAKUre per AKU**

## **Introduzione**

Un esempio di partnership pubblica-privata composta da diversi gruppi internazionali nell'industria (Sobi), organizzazioni di pazienti (Società AKU e ALCAP), ospedali (Royal Liverpool, Ospedale Necker e Istituto nazionale delle malattie reumatiche), accademia (Università di Liverpool e Siena, Istituto di fisiologia molecolare e genetica) e piccole e medie imprese -SME\_ (Nordic Bioscience, PSR e Cudos) per la cura dell'alcaptonuria (alkaptonuria, AKU).

## **Descrizione del caso**

DevelopAKUre è una serie di tre studi clinici, finanziati dal Programma FP7 della Commissione Europea. Sperimenteranno il farmaco nitisinone al fine di trovare evidenze riguardo al suo funzionamento nel trattamento dell'alcaptonuria (AKU). Il progetto comporta uno studio dose-risposta (SONIA1), uno studio di efficacia (SONIA2) per confrontare il trattamento a nessun trattamento, e uno studio trasversale (SOFIA) al fine di determinare la migliore età per iniziare il trattamento. Gli studi si tengono presso tre siti in Europa (Regno Unito, Francia e Slovacchia).

DevelopAKUre è gestito da pazienti, con la AKU Society come partner leader, che assicura che i punti di vista dei pazienti siano considerati durante gli stadi di pianificazione e per l'intera durata degli studi in corso. La Società AKU oggi è un leader nell'arruolamento e supporto dei pazienti e sviluppa documenti informativi per il paziente e promuove la ritenzione dei pazienti. La Società AKU ha raccolto fondi aggiuntivi

grazie a una campagna tramite crowdfunding operata su Indiegogo al fine di essere in grado di fornire un alto livello di cure per i pazienti nel corso di DevelopAKUre.

La Società AKU sta inoltre coordinando la divulgazione per il progetto, garantendo che le attività del progetto siano condivise con i pazienti e il pubblico.

Ulteriori informazioni su <https://akusociety.org/aku-clinical-trials/>

## **Tipo(i) di pazienti (difensori di diritti) coinvolti**

- Pazienti con esperienza personale della malattia.
- Pazienti esperti/difensori dei diritti dei pazienti con buona competenza in merito alla malattia, ma poca esperienza di R&D (research and development, ricerca e sviluppo).
- Pazienti esperti/difensori dei diritti dei pazienti con buona competenza in merito alla malattia e buona esperienza di R&D (research and development, ricerca e sviluppo).

## **Benefici del coinvolgimento dei pazienti**

DevelopAKUre è unico: uno studio clinico veramente condotto da pazienti. Crediamo che possa creare un nuovo paradigma nella ricerca medica, aiutando a promuovere il coinvolgimento dei pazienti nella pianificazione e nella conduzione di studi clinici, e a introdurre l'idea di coinvolgere i gruppi di pazienti come partner attivi che possono condurre compiti come l'arruolamento e la ritenzione dei pazienti.

Il coinvolgimento dei gruppi di pazienti nella pianificazione

degli studi clinici ha migliorato l'esperienza dei pazienti dalla difesa del diritto a un processo di rimborso delle spese più ottimizzato e dal finanziamento dei viaggi dei prestatori di cure al rendere test invasivi facoltativi e alla riduzione del numero di visite ai centri dei test.

## **Sfide e ostacoli**

1. **Finanziamento:** Abbiamo passato diversi anni a cercare di raccogliere fondi per la ricerca clinica. Alla fine abbiamo applicato e acquisito finanziamenti per 6 milioni di Euro dalla Commissione Europea. Poiché la ricerca medica è così costosa, ritenevamo improbabile che enti nazionali potessero fornire prestiti sufficientemente grandi per la ricerca nelle malattie rare.
2. **Legale/Etica:** La Società AKU è leader nell'informazione per i pazienti, il che richiede consulenza professionale su questioni legali ed etiche. A tale fine ci affidiamo ad altri partner (PSR) e a comitati di revisione.
3. **Lingua:** Il maggiore ostacolo per l'arruolamento dei pazienti in ambito europeo sono stati problemi linguistici. Le traduzioni hanno aggiunto un costo rilevante alla produzione di informazioni per i pazienti.
4. **Questioni normative:** Vengono risolte tramite consulenze esterne, principalmente le nostre piccole e medie imprese partner, e consulenza scientifica da parte dell'EMA.

## **Apprendimento**

Speriamo di vedere più ricerche condotte da pazienti, in cui essi siano coinvolti nella pianificazione e nello svolgimento, e che ai gruppi di pazienti venga dato un ruolo attivo. Per noi, i gruppi di pazienti sono i più coinvolti nel comprendere

come la malattia interessa i pazienti e quindi nel fare una buona scelta per i partner nella ricerca. È necessaria una formazione aggiuntiva (come da parte di EUPATI) nella collaborazione con le aziende farmaceutiche e con accademici, nel processo di sviluppo del farmaco e per i requisiti etici/legali di studi clinici. Molti gruppi di pazienti hanno bisogno di incoraggiamento per dimostrare che il loro contributo è apprezzato e importante per la ricerca medica.

A3-DevelopAKUre-V1.0

## **Allegati**