

Pazienti consapevoli – Duchenne Parent Project

Introduzione

Sviluppo di una cura/un trattamento per la distrofia di Duchenne, da parte del Duchenne Parent Project in collaborazione con l'Università di Leida e Prosensa (partner Biotech) – GSK.

Descrizione del caso

Sviluppo di una cura/di un trattamento per la distrofia muscolare di Duchenne.

Il Duchenne Parent Project è stato coinvolto in diversi aspetti del progetto:

- Ha finanziato la ricerca presso l'Università (Leida) e Biotech (Prosensa).
- Ha finanziato lo studio di Fase I b (iniezione locale).
- Coinvolto nell'arruolamento e nei registri di pazienti per studi di follow up.
- Coinvolto negli standard di cura (necessaria per gli studi clinici).
- Coinvolto nello sviluppo delle misure di outcome.
- Ha fornito informazioni a famiglie e pazienti.
- Dibattiti relativi alle normative.

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

- Pazienti/genitori con esperienza personale della

malattia.

- 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

Il Duchenne Parent Project (DPP) è stato parte dell'iniziativa dal giorno uno, senza DPP il progetto di ricerca e follow up probabilmente non sarebbe mai iniziato.

Alla fine i farmaci devono essere dimostrati " clinicamente significativi" ai pazienti, quindi iniziare dai pazienti è un modo adeguato per sviluppare farmaci (dal letto del paziente al laboratorio).

I pazienti sono la forza trainante nella velocizzazione della ricerca e della traslazione dal laboratorio al letto del paziente.

Sfide e ostacoli

La collaborazione con l'azienda "biotech" è stata "facile". Tuttavia, quando il primo prodotto è stato preso in carica dall'azienda "Big Pharma" GSK, la collaborazione (come dibattiti sul disegno dello studio, le misure degli outcome, l'arruolamento o altre regole) è diventata molto difficile poiché Big Pharma ha regole severe che prevedono di non interagire con i pazienti prima che un prodotto sia commercializzato. Il fine è che le aziende disegnino studi per l'intero spettro di pazienti e non soltanto per un singolo uso poiché alla fine quando il prodotto arriva sul mercato è molto probabile che il prodotto sia autorizzato solo per lo stesso singolo uso.

Gli enti di regolamentazione hanno una conoscenza molto limitata riguardo alla malattia.

Apprendimento

In retrospettiva avremmo dovuto iniziare in precedenza con la raccolta di dati della storia naturale. Quando si desidera una cura, raccogliere i dati della storia naturale non sembra "sexy", ma può veramente aiutare a velocizzare il processo di sviluppo del farmaco, ridotto nelle dimensioni del gruppo del placebo. Quando i dati della storia naturale vengono raccolti (e acquisiti) dalle organizzazioni di pazienti, possono essere utilizzati da diverse aziende.

Garantire di avere misure di outcome per tutti i gruppi. Abbiamo iniziato a finanziare iniziative per lo sviluppo di tali misure di outcome.

Aumentare la consapevolezza degli enti di regolamentazione riguardo alla propria malattia e alle preferenze dei pazienti.

A3-DPP-V1.0

Allegati