

Współpraca z pacjentami – badania kliniczne DUET fazy III dotyczące HIV

Wprowadzenie

Współpraca z pacjentami: opis przypadku rzecznictwa pacjentów w związku z badaniami klinicznymi DUET fazy III dotyczącymi HIV – badanie nowego schematu leczenia przy zastosowaniu dwóch związków badanych: TMC125 (etrawiryna) and TMC114 (darunawir). Konsultacje pomiędzy Komisją ds. rozwoju leków koalicji aktywistów na rzecz leczenia AIDS (USA), Grupą doradczą społeczności europejskiej w ramach europejskiej grupy ds. leczenia AIDS (ECAB EATG) i firmy farmaceutycznej Tibotec (obecnie Janssen Therapeutics).

Opis przypadku

Firma Tibotec (obecnie Janssen Therapeutics) opracowująca leki zaprojektowała badania DUET 1 & 2 w 2005 r. Badania kliniczne fazy III DUET dotyczyły równoczesnego stosowania produktu TMC125 (etrawiryna) i TMC114 (darunawir) w leczeniu populacji zakażonej wirusem HIV. Szczególną cechą badania było to, że żaden z badanych związków nie był zarejestrowany w momencie zastosowania (2006). Była to pierwsza sytuacja zastosowania dwóch niezarejestrowanych związków w badaniu klinicznym z udziałem chorych poprzednio leczonych, choć związki te podawano tylko w jednym ramieniu badania, podczas gdy w drugim realizowano schemat z grupą kontrolną otrzymującą placebo.

Zakażenie wirusem HIV jest obecnie nieuleczalną, ale możliwą do zaleczenia chorobą, wymagającą względnie rygorystycznego stosowania u pacjentów leków przeciwretrowirusowych (ART) w

celu uniknięcia oporności. Oporność na pewne leki lub klasy leków jest częstsza u pacjentów wcześniej leczonych, którzy jednak potrzebują nowych lub bardziej złożonych schematów leczenia w celu kontroli reprodukcji wirusa w organizmie.

Przeprowadzenie pierwszego badania z jednoczesnym zastosowaniem dwóch niezarejestrowanych związków miało miejsce przede wszystkim dzięki działaniom społeczności pacjentów. Standardową procedurą jest stosowanie w badaniu jednego nowego związku.

Celem interwencji społeczności pacjentów było sprawdzenie, czy silnie działające, nowatorskie połączenie leków ART jest dostępne jako leczenie rezerwowe dla pacjentów poddawanych wcześniej intensywnemu leczeniu. Opowiedziano się za udostępnieniem nowego schematu leczenia za pośrednictwem badania klinicznego w ramach procedury „aktu miłosierdzia” (ang. compassionate use).

Typy zaangażowanych pacjentów (rzeczników)

- Pacjenci osobiście doświadczający choroby.
- Pacjenci-eksperti/rzecznicy pacjentów posiadający rozległą wiedzę na temat choroby, ale niewielkie doświadczenie badawczo-rozwojowe.
- Pacjenci-eksperti/rzecznicy pacjentów posiadający rozległą wiedzę na temat choroby i znaczne doświadczenie badawczo-rozwojowe.

Korzyści wynikające ze współpracy z pacjentami

W trakcie procesu system konsultacji między społecznością pacjentów i firmą farmaceutyczną wyraźnie zmienił się i dojrzał. Zaangażowane organizacje pacjenckie mogły skutecznie

udowodnić przemysłowi i organizacjom regulacyjnym, że wiedza i doświadczenie społeczności pacjentów może stanowić istotny wkład w proces rozwoju leków. Innowacyjne podejście społeczności stanowiło dla procesu swoisty „zastrzyk odwagi” pozwalający zastosować niekonwencjonalne strategie, nawet jeśli wstępne wyniki z wcześniejszych badań klinicznych nie są wystarczająco przekonujące (w czasie badania wiadano już, że oba nowe związki są bezpieczne i dobrze tolerowane).

To nowe podejście pozwala osiągnąć trwałe wyniki i zaufanie wszystkich zainteresowanych stron. Współpraca dwóch organizacji pacjenckich leżących po przeciwnych stronach Atlantyku zapoczątkowała nową, intensywniejszą fazę, umożliwiając w ten sposób wymianę doświadczeń społeczności ludzi zakażonych wirusem HIV. Badanie DUET doprowadziło do przezwyciężenia zakumulowanej oporności wielolekowej (MDR) u tysięcy pacjentów poddawanych wcześniej agresywnemu leczeniu.

Wyzwania i bariery

Umożliwienie – w ramach procedury „aktu miłosierdzia” – zastosowania nowych związków u pacjentów o ograniczonych możliwościach leczenia było i pozostaje wyzwaniem. Uczestnictwo w badaniach klinicznych stanowi dla pacjentów możliwość dostępu do nowych leków.

Zastosowanie dwóch związków eksperymentalnych nie było częstą praktyką. Przekonanie do nowej strategii firmy farmaceutycznej (a następnie Amerykańskiej Agencji ds. Żywności i Leków (FDA), Europejskiej Agencji Leków (EMA) i właściwych organów krajowych wymagało znacznego wkładu rzeczniczego (politycznego) od społeczności pacjentów.

W 2005 r. w Antwerpii przeprowadzono ważną konferencję z udziałem ATAC-DDC, EATG/ECAB i firmy farmaceutycznej. Szczególnym celem tej konferencji było przekonanie firmy o przydatności i potrzebie zastosowania nowego podejścia w celu pomocy pacjentom.

Głównym wyzwaniem pozostał jednak fakt, że firma farmaceutyczna zdecydowała się na projekt badania z jednym ramieniem z grupą kontrolną otrzymującą placebo, co oznacza, że 50% pacjentów otrzymało placebo + jeden związek badany, a nie oba nowe leki.

Wnioski

Zaangażowanie organizacji pacjenckich i pacjentów-ekspertów w rozwój leków przestało być czymś wyjątkowym. Jednak nowe strategie i nieprzerwana praca oraz ciągłe samokształcenie społeczności i jej rzetelne kompetencje w danej dziedzinie są konieczne, aby poruszać się w złożonym środowisku badań i rozwoju leków.

Aby wykorzystać cele polityczne i naciski, jakie organizacje pacjenckie chcą wywierać, aby osiągnąć założone cele (w tym wypadku dostępność nowych opcji leczenia), konieczne są intensywniejsze interakcje z organami regulacyjnymi.

Pomimo wszystkich wysiłków organizacje pacjenckie osiągnęły jedynie częściowy sukces: we wszystkich odnośnych badaniach pozostawiono ramię z grupą kontrolną otrzymującą placebo. Poprawę w tym obszarze można jednak będzie osiągnąć w projektach późniejszych badań opracowywanych z udziałem pacjentów.

Lepsza koordynacja działań organizacji pacjenckich i bardziej regularna wymiana doświadczeń wewnątrz obszaru związanego z konkretną chorobą i poza nim poprawi skuteczność i efektywność angażowania pacjentów w badania naukowe.

Załączniki

Nr wersji??