

Zaangażowanie pacjentów – organizacja Duchenne Parent Project

Wprowadzenie

Wynalezienie leku/metody leczenia dystrofii mięśniowej Duchenne'a przez organizację Duchenne Parent Project we współpracy z Uniwersytetem w Lejdzie i firmą Prosensa (partner z branży biotechnologicznej) – GSK.

Opis przypadku

Opracowanie leku/terapii na dystrofię mięśniową Duchenne'a

Organizacja Duchenne Parent Project była zaangażowana w różne aspekty projektu:

- Finansowanie badań na Uniwersytecie w Lejdzie i w firmie biotechnologicznej (Prosensa).
- Finansowanie badania fazy I b (wstrzyknięcie miejscowe).
- Zaangażowanie w proces rekrutacji i rejestrowanie pacjentów do badań kontrolnych.
- Zaangażowanie w opiekę standardową (niezbędną do badań klinicznych).
- Zaangażowanie w opracowanie wskaźników uzyskiwanych wyników.
- Informowanie rodzin i pacjentów.
- Rozmowy z organami regulacyjnymi.

Typy zaangażowanych pacjentów (rzeczników)

- Pacjenci/rodzice osobiście doświadczający choroby.
- Pacjent-ekspert/rzecznik pacjentów posiadający rozległą wiedzę na temat choroby i znaczne doświadczenie badawczo-rozwojowe.

Korzyści wynikające z zaangażowania pacjentów

Organizacja Duchenne Parent Project (DPP) była częścią inicjatywy od pierwszego dnia. Bez tej organizacji sam projekt i obserwacja prawdopodobnie nigdy by się nie rozpoczęły.

Pod koniec badania należy udowodnić, że leki są „znaczące klinicznie” dla pacjentów, więc począwszy od pacjentów opracowanie leków jest ściśle kontrolowane („od zastosowania do laboratorium”).

Pacjenci są siłą napędową, która przyspiesza badania i przekłada wyniki uzyskiwane w laboratorium na zastosowanie u pacjenta („od laboratorium do zastosowania”).

Wyzwania i bariery

Współpraca z firmą biotechnologiczną była „łatwa”. Jednak, gdy pierwszy produkt został przejęty przez „dużego gracza” z branży farmaceutycznej – GSK – współpraca (polegająca na dyskusjach na temat projektu badań, wskaźników uzyskiwanych wyników, rekrutacji i innych taktyk) stała się bardzo trudna. Duża firma farmaceutyczna kieruje się ścisłymi regułami, aby nie wchodzić w interakcje z pacjentami zanim produkt znajdzie się na rynku. Projektowanie badań dla pełnego spektrum pacjentów, a nie tylko dla małej grupy stosującej lek w ściśle określony sposób, ponieważ w momencie wprowadzania produktu na

rynek jest bardzo prawdopodobne, że firma uzyska pozwolenie na stosowanie wyłącznie w tym wąskim zakresie.

Organy regulacyjne posiadają bardzo ograniczoną wiedzę na temat choroby.

Wnioski

Patrząc wstecz powinniśmy zacząć wcześniej zbierać dane na temat naturalnego przebiegu choroby. Jeśli poszukujemy lekarstwa, zbieranie danych na temat naturalnego przebiegu choroby nie brzmi atrakcyjnie, ale może rzeczywiście pomóc przyspieszyć proces opracowania leku i zmniejszyć grupę pacjentów otrzymujących placebo. Gdy dane na temat naturalnego przebiegu choroby są zbierane przez organizacje pacjenckie (i organizacje są ich właścicielami), wówczas dane mogą być wykorzystywane przez różne firmy.

Należy się upewnić, że istnieją wskaźniki uzyskiwanych wyników dla wszystkich grup. Rozpoczęliśmy finansowanie inicjatyw mających na celu opracowanie wskaźników uzyskiwanych wyników.

Należy podnosić świadomość organów regulacyjnych o danej chorobie i preferencjach pacjentów.

A3-DPP-V1.0

Załączniki