Zaangażowanie pacjentów – projekt DevelopAKUre mający na celu opracowanie leku na alkaptonurię

Wprowadzenie

Przykład partnerstwa publiczno-prywatnego obejmującego różnorodne grupy międzynarodowe z przemysłu (Sobi), organizacji pacjenckich (AKU Society i ALCAP), szpitali (Royal Liverpool, Hospital Necker oraz National Institute of Rheumatic Diseases), środowiska akademickiego (Uniwersytety w Liverpoolu i w Sienie, Institute of Molecular Physiology and Genetics) oraz z sektora małych i średnich przedsiębiorstw (MŚP) (Nordic Bioscience, PSR i Cudos) mającego na celu znalezienie leku na alkaptonurię (AKU).

Opis przypadku

Projekt „DevelopAKUre" (Znalezienie leku na alkaptonurię) to seria trzech badań klinicznych finansowanych w ramach 7. Programu Ramowego Komisji Europejskiej. Badania te mają na celu znalezienie dowodów na skuteczność działania leku o nazwie nityzynon w przypadku chorych z alkaptonurią. Projekt obejmuje badanie zależności odpowiedzi na leczenie od dawki (SONIA1), badanie skuteczności (SONIA 2) porównujące leczenie z brakiem leczenia oraz badanie przekrojowe (SOFIA) mające na celu ustalenie wieku, w którym najlepiej rozpocząć leczenie. Badania są prowadzone w trzech ośrodkach w Europie (w Wielkiej Brytanii, Francji i Słowacji).

„DevelopAKUre" jest kierowany przez pacjentów, a organizacja

pacjencka AKU Society jest partnerem wiodącym. Taki schemat zapewnia uwzględnienie opinii pacjentów na etapie planowania i w toku badań. Organizacja pacjencka AKU Society prowadzi teraz rekrutację pacjentów i zajmuje się ich wsparciem, uczestniczy w opracowaniu informacji dla pacjentów i promuje skuteczne utrzymanie pacjentów w badaniu. Organizacja pacjencka AKU Society pozyskała dodatkowe środki w ramach kampanii finansowania społecznościowego na platformie Indiegogo, aby zapewnić wysoki poziom opieki nad pacjentami w trakcie projektu „DevelopAKUre".

Organizacja pacjencka AKU Society koordynuje również zadania związane z rozpowszechnianiem informacji o projekcie, zapewniając informowanie pacjentów i opinii publicznej o działaniach podjętych w ramach projektu.

Więcej informacji można zaleźć na stronie https://akusociety.org/aku-clinical-trials/

Typy zaangażowanych pacjentów (rzeczników)

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

Korzyści wynikające z zaangażowania pacjentów

„DevelopAKUre" jest unikalny: badanie kliniczne faktycznie kierowane przez pacjentów. Wierzymy, że może to stworzyć nowy paradygmat w badaniach medycznych, pomagając promować

zaangażowanie pacjentów w zakresie planowania i prowadzenia badań klinicznych i wprowadzenie idei włączania grup pacjentów jako aktywnych partnerów, którzy mogą kierować zadaniami, takimi jak rekrutacja pacjentów i utrzymanie pacjentów w badaniu.

Zaangażowanie grup pacjentów w planowanie badań klinicznych poprawiło doświadczenie pacjentów na skutek różnego typu działań, od promowania bardziej usprawnionego procesu zwrotu kosztów i finasowania podróży opiekunów pacjentów do umożliwienia wyboru co do przeprowadzania testów inwazyjnych i zmniejszenia liczby wizyt w ośrodkach badawczych.

Wyzwania i bariery

1. Finansowanie: Poświęciliśmy kilka lat starając się zebrać fundusze na badania kliniczne. W końcu złożyliśmy wniosek i uzyskaliśmy dofinansowanie w wysokości 6 mln € od Komisji Europejskiej. Badania medyczne są bardzo drogie i naszym zdaniem zapewnienie wystarczającego finasowania na badania poświęcone chorobom rzadkim przez organy krajowe jest mało prawdopodobne.
2. Aspekty prawne/etyczne: Organizacja pacjencka AKU Society odgrywa wiodącą rolę w dziedzinie informacji dla pacjentów, co wymaga profesjonalnego doradztwa w kwestiach prawnych i etycznych. W tej dziedzinie polegamy na innych partnerach (PSR) i komisjach bioetycznych.
3. Język: Największą barierą w procesie rekrutacji pacjentów w Europie są problemy językowe. Wydatki na tłumaczenia zwiększyły znacznie koszty wytwarzania informacji dla pacjenta.
4. Kwestie regulacyjne: Rozwiązywane na drodze doradztwa zewnętrznego, głównie z wykorzystaniem naszych partnerów z małych i średnich przedsiębiorstw oraz ekspertyz naukowych z Europejskiej Agencji Leków (EMA).

Wnioski

Mamy nadzieję na większą liczbę badań prowadzonych przez pacjentów, w ramach których pacjenci wezmą udział w planowaniu i prowadzeniu badań, a grupy pacjentów odegrają aktywną rolę. Jeżeli chodzi o nas, to grupy pacjentów są najbardziej zaangażowane w zrozumienie wpływu choroby na pacjentów i dokonanie odpowiedniego wyboru partnerów w badaniach. Potrzebne są dodatkowe szkolenia (na przykład prowadzone przez Europejską Akademię Pacjentów EUPATI) na temat współpracy z branżą farmaceutyczną i środowiskiem akademickim, poświęcone opracowywaniu leków oraz dotyczące wymagań etycznych/prawnych badań klinicznych. Wiele grup pacjentów potrzebuje potwierdzenia, że ich wkład jest ceniony i ważny dla badań medycznych.

A3-DevelopAKUre-V1.0

Załączniki