

Patientinddragelse – Duchenne Forældre Projekt

Introduktion

Udvikling af en kur/behandling mod Duchenne, via Duchenne Forældre Projekt i samarbejde med Leiden-universitetet og Prosensa (biotek-partner) – GSK.

Beskrivelse af casen

Udvikling af en kur/behandling mod Duchennes muskeldystrofi.

Duchenne Forældre Projekt blev inddraget i forskellige aspekter af projektet:

- Finansieret forskning på universitetet (Leiden) og biotek (Prosensa).
- Finansieret fase I b-forsøg (lokal injektion).
- Inddragelse i rekruttering og patientregistre ved opfølgingsforsøgene.
- Inddragelse i standarder for pleje (til brug i kliniske forsøg).
- Inddragelse i udvikling af mål for udfald.
- Information til familier og patienter.
- Drøftelser med myndighederne.

Type(r) af inddragede patienter/patientrepræsentanter

- Patienter/forældre med personlig sygdomserfaring.
- Patientekspert/patientrepræsentant med ekspertviden om sygdommen og med god erfaring inden for F&U.

Fordele ved patientinddragelse

Duchenne Forældre Projekt (DFP) indgik i initiativet fra dag ét. Uden DFP var forskningsprojektet og opfølgningen sandsynligvis slet ikke kommet i gang.

I sidste ende skal det påvises, at lægemidler har klinisk betydning for patienterne. Derfor er det en rigtig god idé at tage udgangspunkt i patienterne, når der skal udvikles lægemidler.

Patienter er drivkraften, der kan sætte gang i forskning og overførsel fra laboratoriet til patienten.

Udfordringer og barrierer

Samarbejdet med biotek-virksomheden var nemt. Men da det første produkt blev overtaget af den store lægemiddelvirksomhed GSK, blev samarbejdet (f.eks. drøftelser om forsøgsdesign, udfald, mål og rekruttering samt andre regler) meget vanskeligt, fordi de store lægemiddelvirksomheder har strenge regler om ikke at samarbejde med patienter, før produktet er på markedet. At få virksomheder til at lave forsøgsdesign til hele patientspektret og ikke kun til en mindre anvendelse som ved afslutningen, når produktet kommer på markedet, hvor det højst sandsynligt alligevel kun får tilladelse til denne mindre anvendelse.

Lægemiddelmyndighederne har meget begrænset viden om sygdommen.

Erfaringer

Når vi ser tilbage, skulle vi have startet tidligere med indsamlingen af patientens egne registrerede data. Når ønsket er en kur, lyder indsamling af patientens egne registrerede

ikke særligt sexet, men det kan virkelig sætte gang i udviklingsprocessen for et lægemiddel og reducere størrelsen af placebogruppen. Når patientens egne registrerede data indsamles (og ejes) af patientorganisationer, kan de bruges af forskellige virksomheder.

Sørg for at have resultatmål for alle grupper. Vi har igangsat og finansierer initiativer til udvikling af disse resultatmål.

Skab opmærksomhed om din sygdom og patienternes præferencer hos lægemiddelmyndighederne.

A3-DPP-V1.0

Bilag