



Leukämie
online.de

Priorisierung medizinischer Forschung aus Sicht der Patienten

Jan Geißler
Berlin, 24. September 2015

Geschäftsführer, European Patients' Academy (EUPATI), BE
Gründer und Vorstand, LeukaNET e.V., DE
und Stiftung Leukämiepatientenvertreter, CH

jan@leukaemie-online.de, Twitter @jangeissler

Mehr als 5.000 seltene Erkrankungen, mehr als 200 Krebsarten – Patienten brauchen Fortschritt

- Molekulare Targets und Pathways
- Genomsequenzierung
- Translationale Forschung
- Personalisierte Medizin
 - Kleinere Populationen
 - Biomarker, companion diagnostics
- Bedarf nach Post-Marketing-Daten, Versorgungsforschung
- Health Technology Assessment, Lebensqualität, Endpunkte, Komparatoren
- Kostendruck, ausufernde Preise und massive Administration

Neue Vorgehensweisen erforderlich

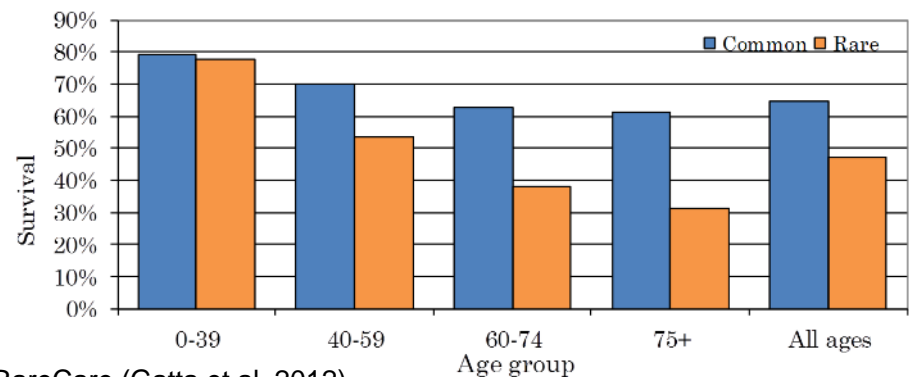
- von Organen zu Biomarkern
- Neue Studiendesigns
- Neue Modelle der Zusammenarbeit
- **Patientenmitwirkung**

Die „Magic Bullets“ gibt es nur für die wenigsten Patienten

- Spannende Fortschritte in z.B. CML, Melanom, Lungenkrebs
- Erfolgsgeschichten aber nur für einen kleinen Teil der Patienten – und “bestes Alter”



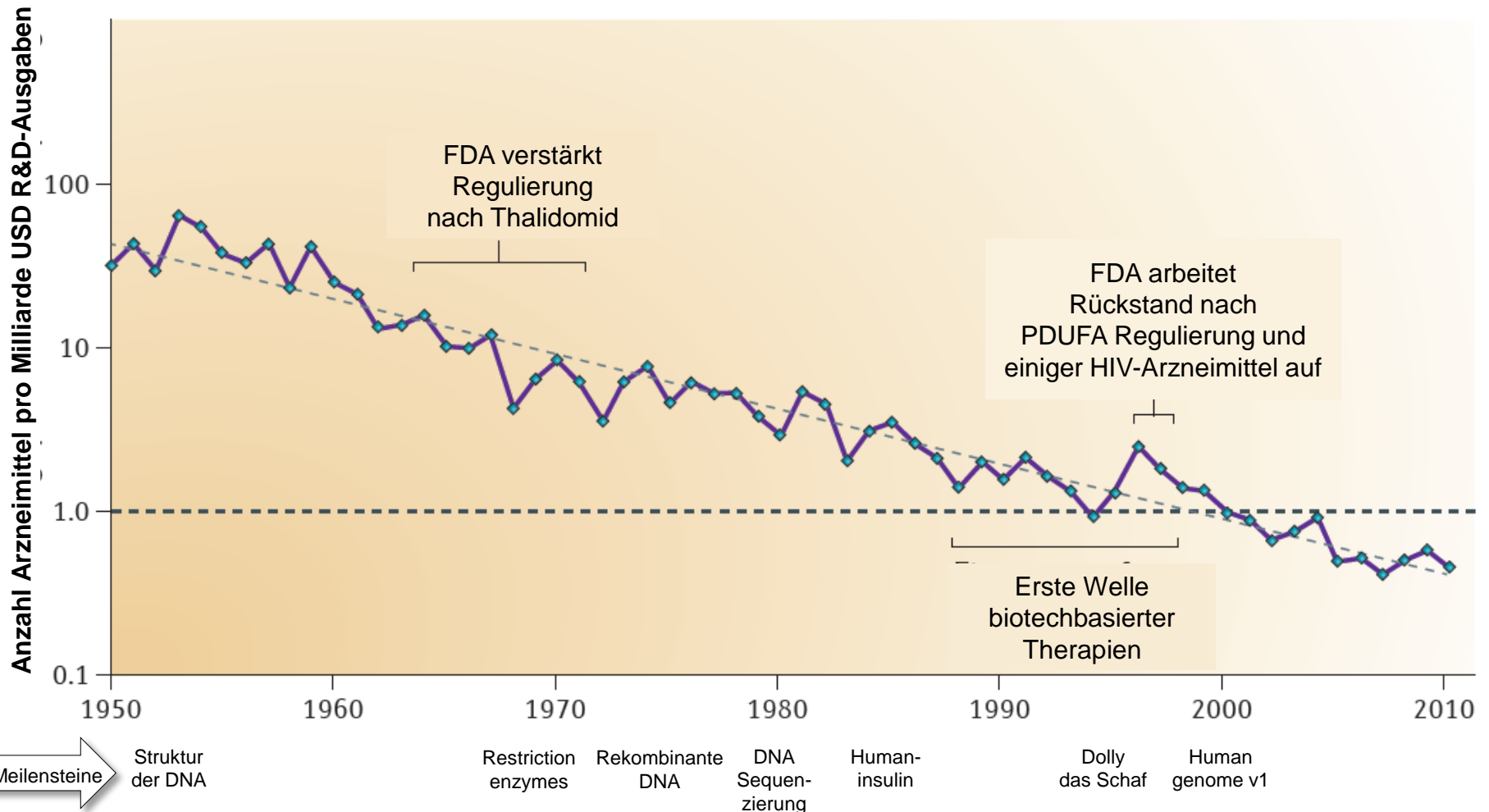
5 YEAR RELATIVE SURVIVAL FOR RARE AND COMMON CANCERS IN EU27 BY AGE GROUP



RareCare (Gatta et al, 2012)

>200 Krebsarten, >5200 seltene Erkrankungen:
Patienten brauchen bessere Therapien.
 Aber: Das jetzige System ist nicht zukunftsfähig

Gesamtrend in R&D-Effizienz (inflationbereinigt)



Quelle: Nature – How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge

Vermeidbare Verschwendung in der Produktion und Nutzung von Forschungsergebnissen

Iain Chalmers, Paul Glasziou, The Lancet, 15 June 2009, doi:10.1016/S0140-6736(09)60329-9

1

2

3

4

Fragen relevant für Kliniker & Patienten?

Niedrigprioritäre Fragestellungen adressiert

Wichtige Outcomes nicht adressiert

Kliniker und Patienten nicht involviert in Definition der Forschungstätigkeit

Angemessenes Design und Methoden?

>50% der Studien designed ohne Referenz zu systematischer Bewertung existierender Evidenz

>50% der Studien ohne adequate Schritte zur Vermeidung von Verzerrungen, z.B. offene Therapiewahl

Zugängliche vollständige Publikation?

>50% der Studien niemals vollständig veröffentlicht

Verfälschtes Underreporting von Studien mit enttäuschenden Ergebnissen

Unverzerrte und nutzbare Publikation?

>30% der Studieninterventionen nicht hinreichend beschrieben

>50% der geplanten Studien-Outcomes nicht veröffentlicht

Die meisten neue Forschungsprojekte nicht interpretiert im Kontext von systematischer Prüfung von anderer relevanter Evidenz

85% Verschwendung in der Forschung = >\$85 Mrd./Jahr

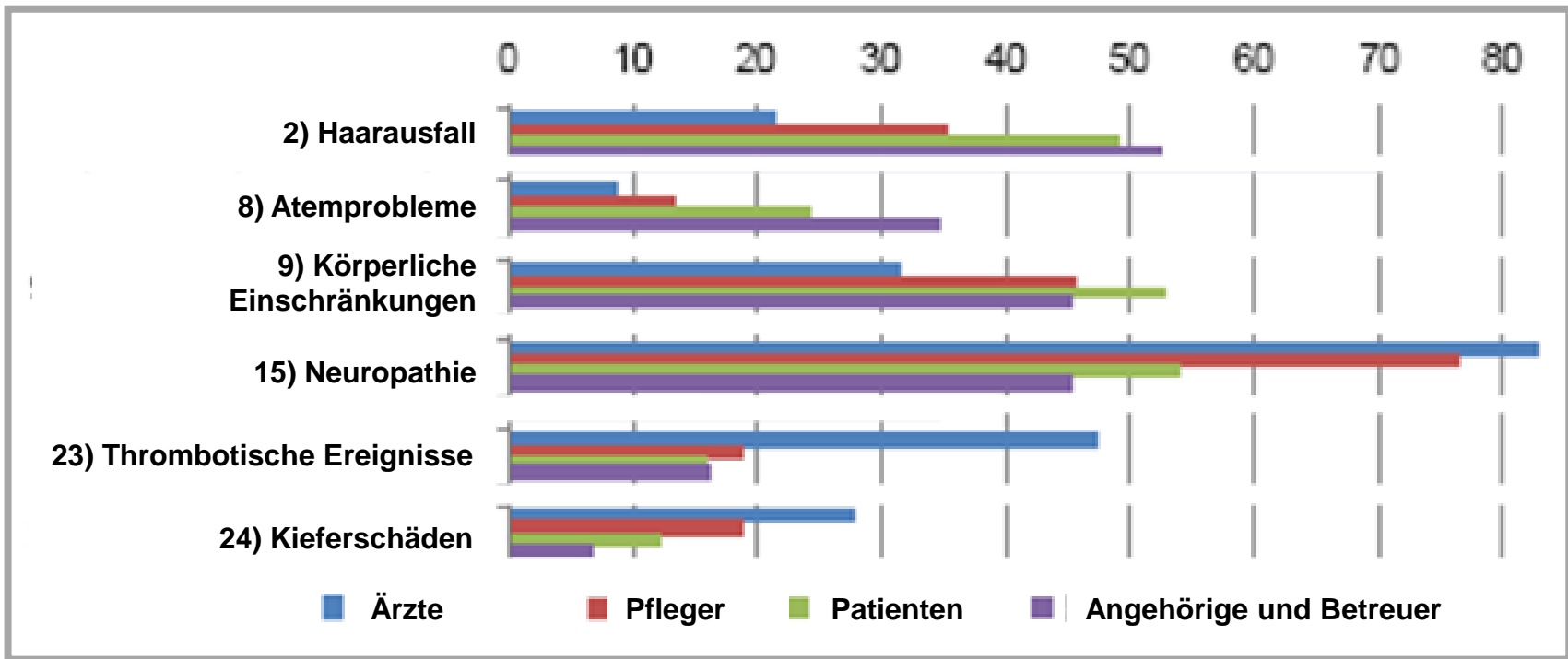
Prioritäten sind unterschiedlich – Patienten kennen die Realität am Besten.

- Überleben oder Leben
- Wesen der Erkrankung im Alltag
- Kurz- oder Langzeitfolgen von Erkrankung und Therapie
- Symptome: Ausmaß, schwer tolerierbar, tödlich
- Krankheits- oder behandlungsbedingter Schmerz
- Beeinträchtigung durch die Erkrankung in Alltag, Arbeitsfähigkeit, soziales Leben, seelischem Wohlbefinden, Freude

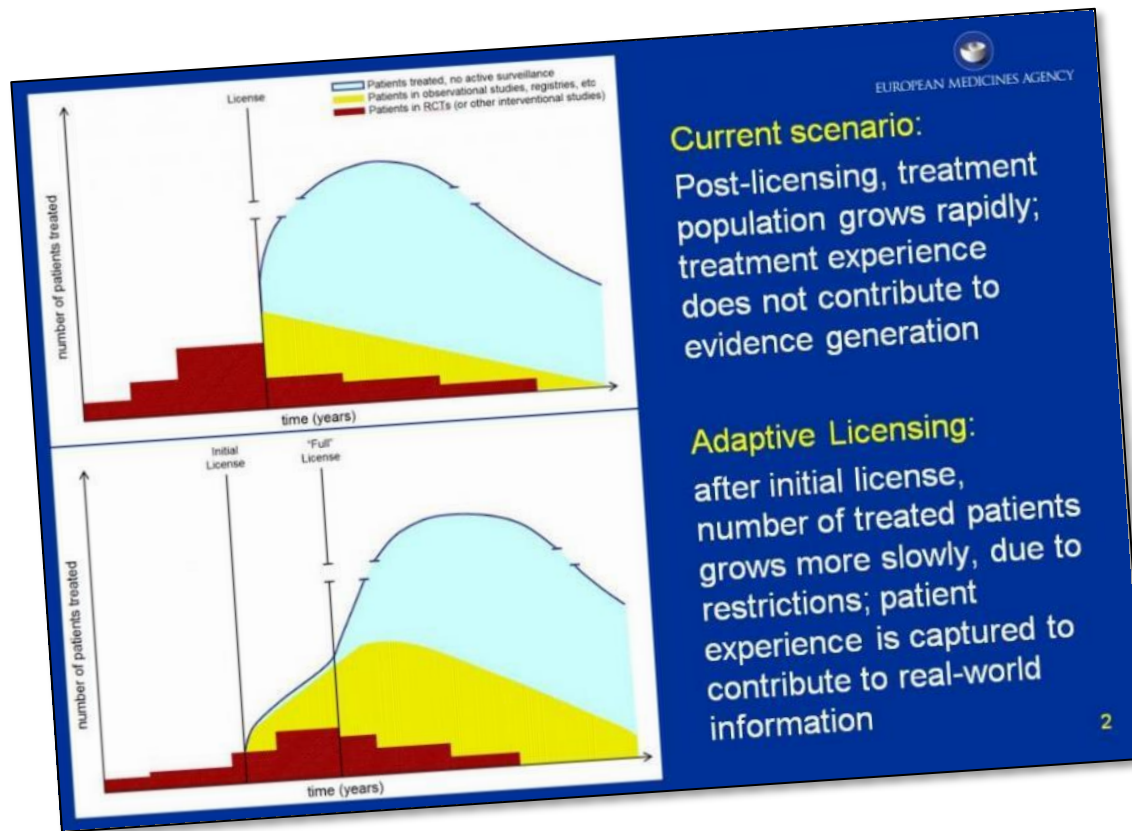
Patientenorganisationen haben mit Patienten und ihre Angehörigen den besten Einblick in das (Über)Leben mit der Erkrankung

Patienten haben oftmals andere Prioritäten und Perspektiven als Ärzte, Angehörige oder Pflegekräfte

Nebenwirkungen mit dem negativsten Einfluss auf das Gesamtbefinden (in %)



Neue Zulassungsmodelle erfordern neuen Umgang mit Nutzen/Risiko-Balance: Rolle für Patienten!



- “Adaptive Pathways” – iterative Phasen von strukturierter Datensammlung und Bewertung
- Erfordert Akzeptanz von Unsicherheit – mit Beteiligung der Patienten

Patientenorganisationen wollen beitragen: Von „Selbsthilfe“ zum Vertreter und Partner



"Klassische" Selbsthilfe

- Informieren, helfen, unterstützen
- Navigator
- Lebensqualität, hochqualitative Information



Patientenvertretung

- Besser Qualität in Gesundheitspolitik, Versorgung, Forschung

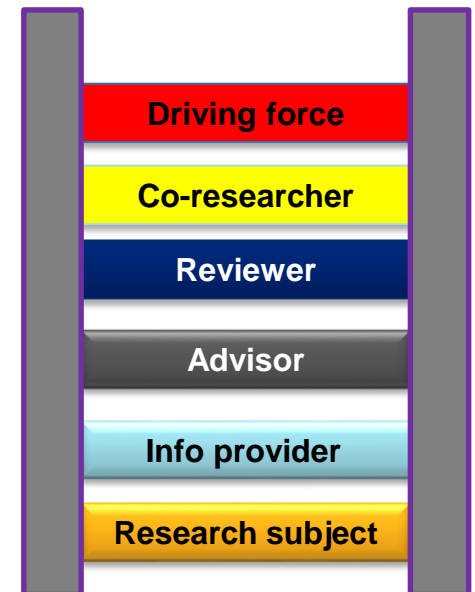


Mitwirkung in der Forschung

- In Partnerschaft mit Forschung, Klinik und Industrie
- Besonders wichtig bei seltenen Erkrankungen

Patienten(organisationen) können und wollen zur Forschung beitragen

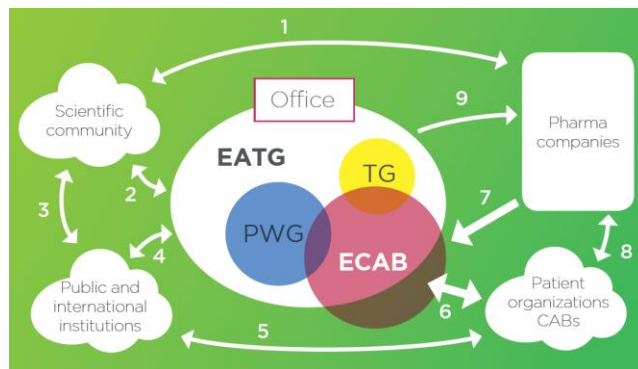
- **Erwartungsmanagement** (hope/hype)
- **Besseres Studiendesign**
(Aufnahmekriterien, unnötige Diagnostik, Risiko/Nutzen-Dilemmas, Ethik, patientenrelevante Endpunkte)
- **Kommunikation von Studien an Patienten** („make or break trials“)
- Verbesserung der **Patienteninformation zur Studienteilnahme**
- **Transport von Studienergebnissen in die Praxis**



Source: PatientPartner FP7
Project (2010)

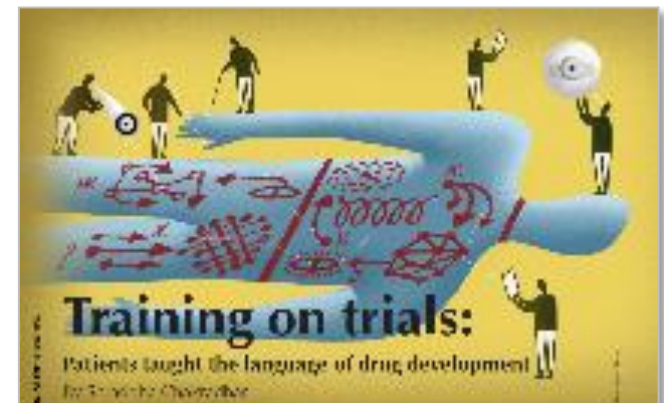
Im internationaler Ebene ist Patientenbeteiligung in F&E gelebter Alltag

Im Ausland, speziell auf EU- und internationaler Ebene ist Beteiligung von Patienten bereits Alltag



ECABS (for 15 years)

Nature Medicine (2015)



JCO (2009)

VOLUME 27 · NUMBER 18 · JUNE 1 2009

JOURNAL OF CLINICAL ONCOLOGY PERSPECTIVES IN ONCOLOGY

To Make Progress in Rare Cancers, Patients Must Lead the Way
 Amy Dockser Marcus

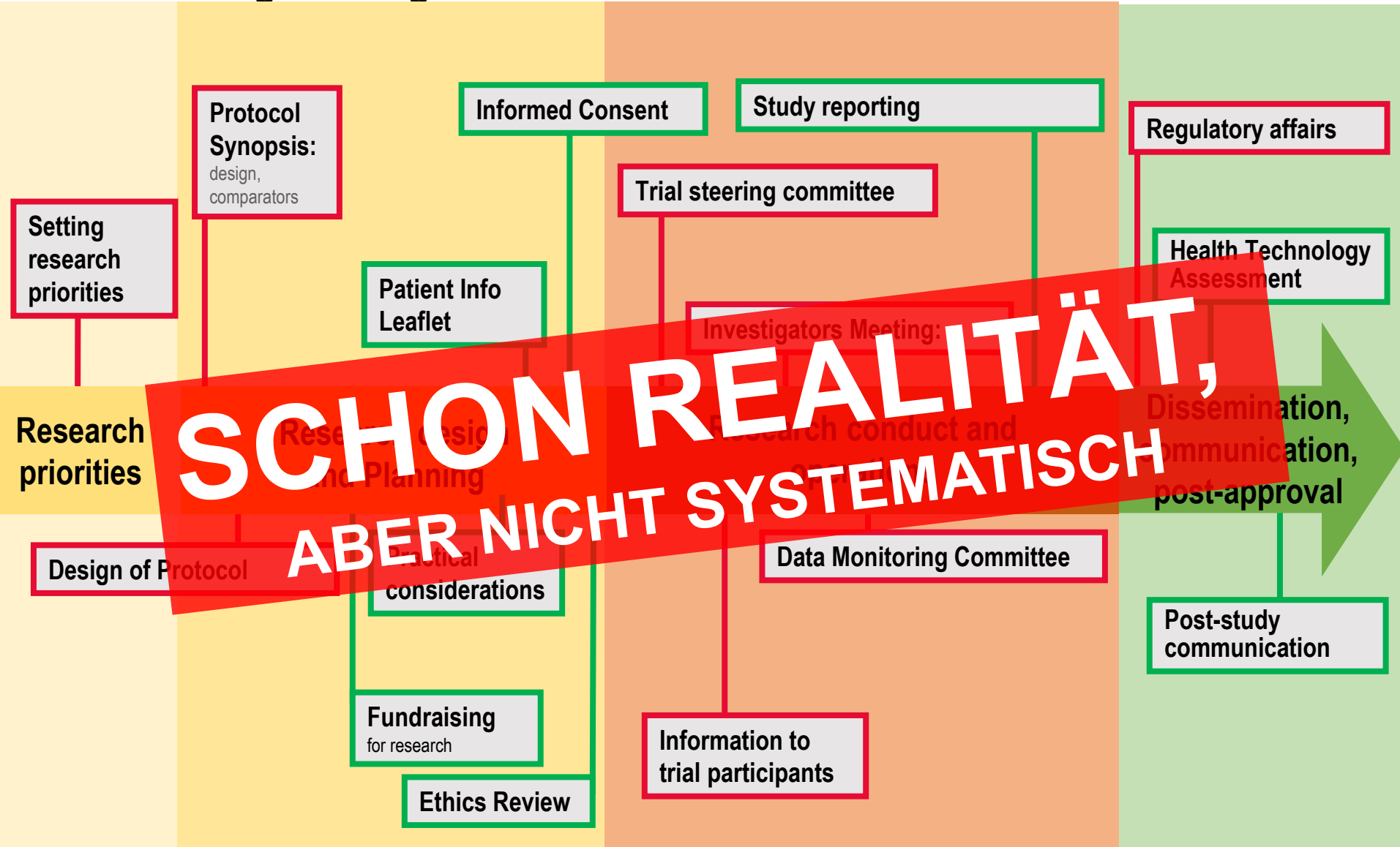
In January, 2004, I flew to New Orleans, LA, to meet Andy Martin. He took me to the laboratory where he was working. A third-year medical student. They recognized that when it came to SNUC, Andy was in many ways the expert on the disease. These physicians learned from the research he did,

Submitted January 9, 2009; accepted February 2, 2009; published online ahead of print at www.jco.org on May 4, 2009.

Patients taught the language of drug development
 by Timothy Cheever

When I first met Andy Martin, he was a third-year medical student at the University of Texas at Houston. He was working in the laboratory of Dr. Andy Martin, who was a pioneer in the field of rare cancer research. Andy was in many ways the expert on the disease. These physicians learned from the research he did,

Patientenbeteiligung im gesamten Entwicklungsprozess: Relevante Fragestellungen



Level of expertise in the disease area required:

high
medium

Europäische Patientenakademie



- **Objektive, qualitätsgeprüfte, laienverständliche Materialien & Weiterbildung zur Arzneimittel-F&E**
- Gefördert durch „IMI“, öffentlich-private Partnerschaft der EU-Kommission mit EFPIA
- Kompetenzaufbau bei Patientenvertretern für Mitwirkung in Forschung, Behörden, Ethikkommissionen
- Gestartet 2/2012, noch 1 ¼ Jahre
- 33 Konsortialmitglieder, **geleitet vom European Patients' Forum**
- Deutsch eine der 7 Sprachen

EUPATI deckt den Arzneimittel- entwicklungsprozess von Grundlagenforschung bis zur Anwendung ab

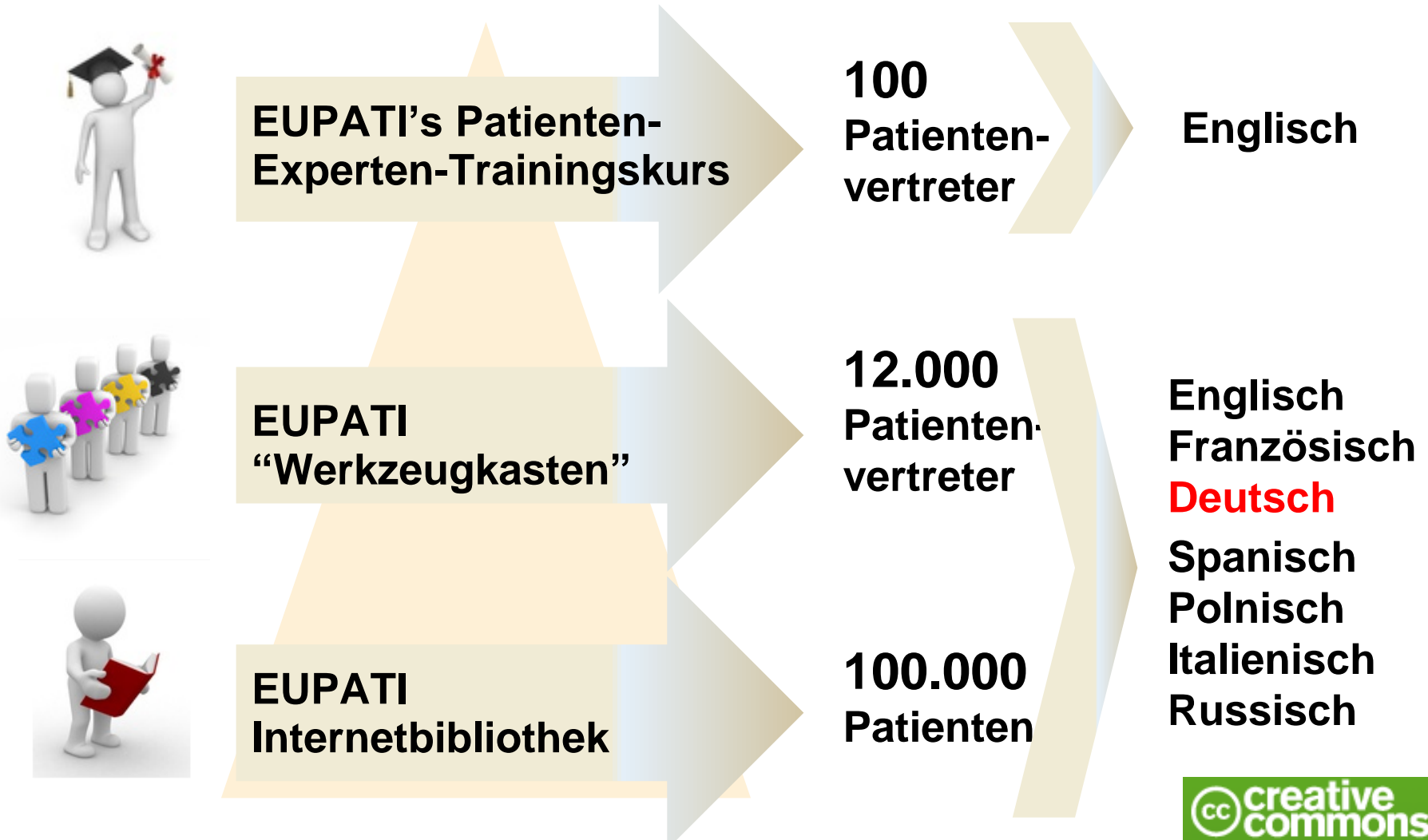


1. Grundlagenforschung, Arzneimittelentwicklungsplanung
2. Prä-klinische Entwicklung und Testing
3. Klinische Entwicklung und Studien
4. Regulierungs- und Zulassungsprozesse
5. Arzneimittelsicherheit, Risiko/Nutzen
6. Gesundheitsökonomie und Nutzenbewertung (HTA)

Aber nicht: spezifische Indikationen oder Therapien,
sondern nur der Entwicklungsprozess und -Rahmen!

+ Rolle von Patienten in
allen R&D-Prozessen

„Weiterbildungsebenen“ von EUPATI





Priorität mit dem Patient, für den Patient!

Jan Geißler

jan@patientsacademy.eu

Twitter @jangeissler

5
MEETING
EXPOSIT

