

Klinische proeven: de patiënt centraal

Hoe zit dat bij zeldzame ziekten?



RaDiOrg.be
Rare Diseases Organisation

dr. Patrik Claes
Spierziekten Vlaanderen

- Biochemicus van opleiding
- R&D Janssen Pharmaceutica
- Histogenex: biopsie analyses voor klinische studies van farma
- Sinds 2010 wetenschappelijk medewerker & belangenbehartiging



- Werkgroep belangenbehartiging Radiorg

Weesziekten: specifieke problemen

Zeer dikwijls:

- Weesgeneesmiddelen moeilijk te ontwikkelen
- Dure therapie
- Invalidierend
- Degeneratief, soms lethaal
- Ongeneeslijk want geen behandeling

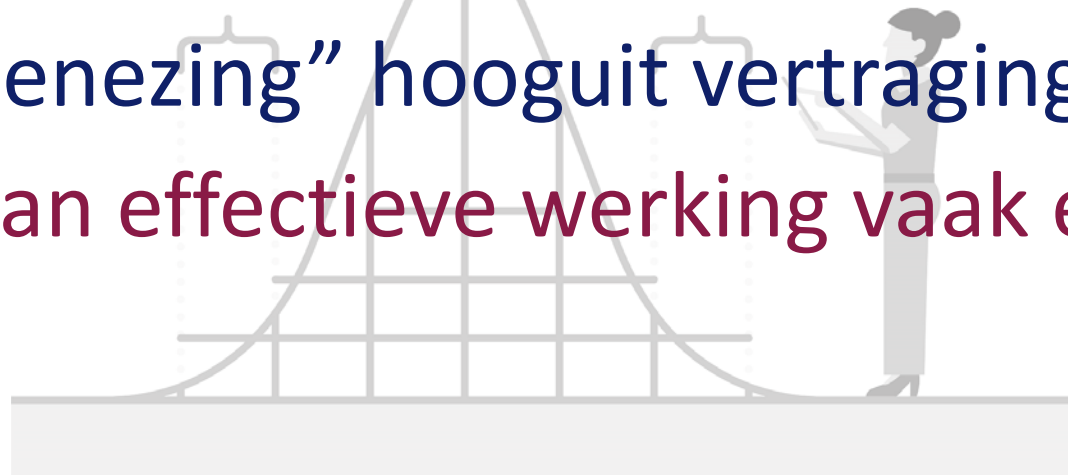
Weesziekten: specifieke problemen

Zeer dikwijls:

- Weesgeneesmiddelen moeilijk te ontwikkelen
- Dure therapie
- Invalidierend
- Degeneratief, soms lethaal
- Ongeneeslijk want geen behandeling

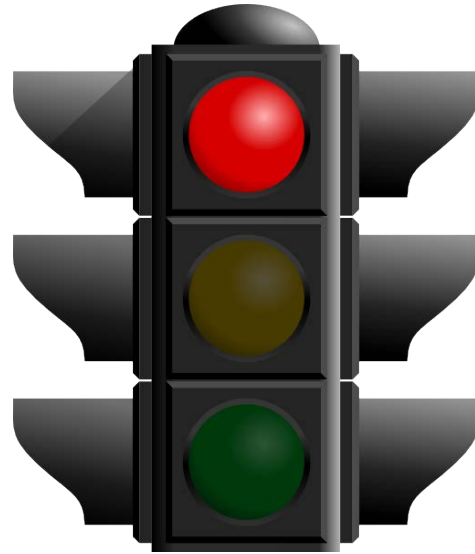
Weesgeneesmiddelen: ontwikkelen=moeilijk

- Kleine populatie ($<1/2000$) = zoeken → statistiek!
- Erg verspreid → lange reistijd & veel trial centers
- Grote variatie in symptomen en dus metingen
→ soms weinig meetbare parameters
- Natuurlijk verloop slecht gekend + placebo=probleem
- Zelden “genezing” hooguit vertraging of stagnatie
→ Bewijs van effectieve werking vaak eerder zwak



Weesgeneesmiddelen: specifieke problemen

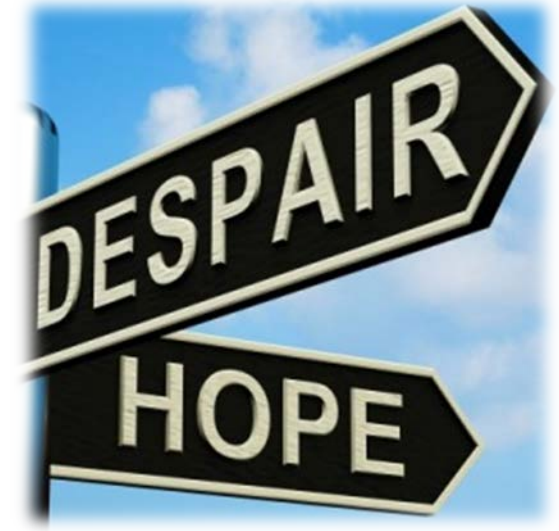
Bewijs zwak + duur medicijn



RIZIV

Invaliderend, ongeneeslijk, soms lethaal

- Voortdurend op zoek naar informatie
- Elke “doorbraak” weer hoop
- Steeds op zoek naar studies om deel te nemen (zelfs buitenland)
- Angst om “de beste” studie te missen
(Wat als groep geschikte kandidaten uitgeput is?)
→ natural history ook relevant!



Rol patiëntenorganisaties

- Medische geletterdheid bevorderen + informatie geven
- Filteren i.s.m. behandelende experts (“doorbraken”)
 - Buitenlands onderzoek (gen- of stamceltherapie,...)
 - Uitleg over fases in klinische studies
- Symposia organiseren (diagnose-specifiek en algemeen)
 - Recente ontwikkelingen
 - Klinische studies en natuurlijk verloop, nut van placebo,...
- Individuele vragen beantwoorden (i.s.m. behandelende arts)

Rol patiëntenorganisaties

- Bevorderen uitwisseling informatie vanuit Belgische klinische studiecentra
- Clinicaltrials.gov
 - Studie centra
 - Inclusie en exclusie criteria
 - Toediening en gemeten parameters (protocol)
- Uitwisseling van info met internationale organisaties



CONTACT met ARTSEN!

Rol patiëntenorganisaties

- Samenwerking met expertise centra waar mogelijk
- “filteren” van aanvragen van farma-bedrijven
- Aandringen op patient centricity bij klinische studies én op de markt komen

Patiënt centraal?

- Rol bij bepalen van relevante parameters in studie

Welke parameters zijn voor een patiënt relevant



Wat is meetbaar en nodig voor aantoonbaarheid



- Haalbaarheid van het protocol
→ Contact met bedrijven én trial centers

Bedrijf is bepalende factor in klinische studie!

Patiënt centraal?

- Wat na afronden klinische studie?
 - betrokkenheid patiënt bij marktauthorisatie?
 - CHMP vertegenwoordigers EMA
 - betrokkenheid patiënt bij terugbetalingsdossier?
 - inspraak bij RIZIV / kabinet?
 - onderscheid klinische studie en “echte wereld”
- bedrijven & overheid



Gouden Regels

- Laat je niet meeslepen en informeer je grondig en objectief
- Overleg met je arts
- Word lid van een patiëntenvereniging (indien mogelijk)

Durf je mening geven.
Jouw mening telt niet alleen, ze is essentieel!



Patrik Claes
patrik.claes@spierziektenvlaanderen.be
www.SpierziektenVlaanderen.be