



Hoe kan u als patiënt het goedkeuren
van medicijnen beïnvloeden?

NAF* Webinar 14 juli 2020

Dit artikel beschrijft een online bijeenkomst op 14 juli 2020 waarin patiënten en mantelzorgers voorbereid worden op een gesprek met de FDA op 25 september 2020. Ataxie patiënten kunnen dan hun stem laten horen. De FDA wil weten wat belangrijk is voor de patiënt en de mantelzorger. Deze kennis zal invloed hebben op besluiten van de FDA en zal leiden tot betere behandelingen en mogelijk snellere toelating tot de markt.

Ook voor degenen die de bijeenkomst van 25 september 2020 niet (hebben) kunnen bijwonen, is dit artikel interessant omdat het aangeeft hoe de stem van de patiënt steeds verder doordringt tot de goedkeurende instantie, en welke informatie van de patiënt de FDA wil gaan gebruiken bij haar besluit tot toelating van geneesmiddelen op de markt.

*Vertaling en samenvatting door
Gabriëlle Donné-Op den Kelder*

Omdat behandelingen voor ataxie steeds dichterbij komen, is het van groot belang dat de instantie die de behandeling goedkeurt, de FDA of de EMA***, weet wat voor de patiënt van belang is. Wanneer is voor de patiënt een behandeling effectief? Hoe ziet een zinvolle behandeling er voor de patiënt uit? Welke informatie hebben deze instanties van de patiënt zelf nodig om een behandeling goed of af te keuren?**

** De NAF, de National Ataxia Foundation, gevestigd in Amerika met circa 5.000 leden wereldwijd; ** de FDA: autoriteit voor Food and Drug Administration in Amerika; *** de EMA: European Medicines Agency, Het Europese Geneesmiddelenbureau.*

Waarom wil de FDA in overleg met de patiënt?

De FDA begint tot het besef te komen dat ze bij iedere fase in de ontwikkeling van medicijnen de input van de patiënt nodig heeft. Zowel aan het begin als tijdens het proces. Om die reden heeft samenwerken met patiëntenorganisaties zoals de NAF met circa 5.000 leden, voor de FDA een hoge prioriteit gekregen. De FDA wil weten wat de impact van de ziekte is op het leven van de patiënt en de mantelzorger.

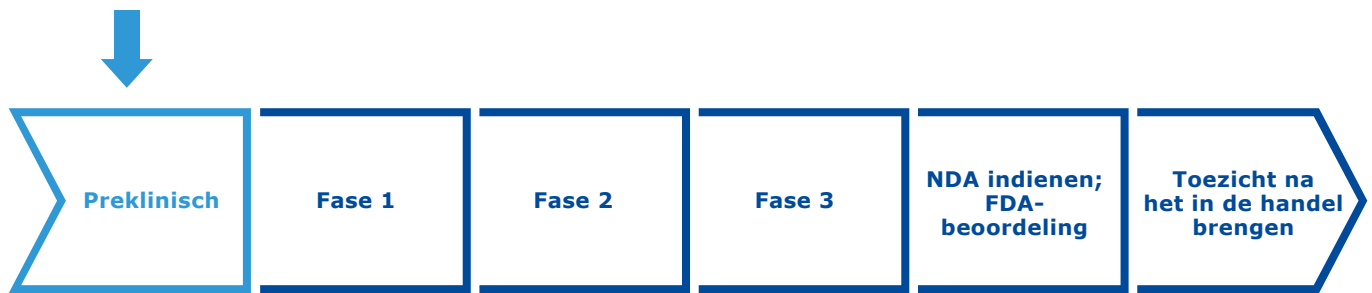
Hoe ziet het pad van medicijn ontwikkeling eruit?

Om te kunnen begrijpen hoe de FDA werkt, is het belangrijk om iets meer te weten over medicijnontwikkeling en de betrokkenheid van de FDA. Daarna leggen we uit hoe je je als patiënt en mantelzorger kan voorbereiden op een bijeenkomst met de FDA.

FDA en de ontwikkeling van medicijnen

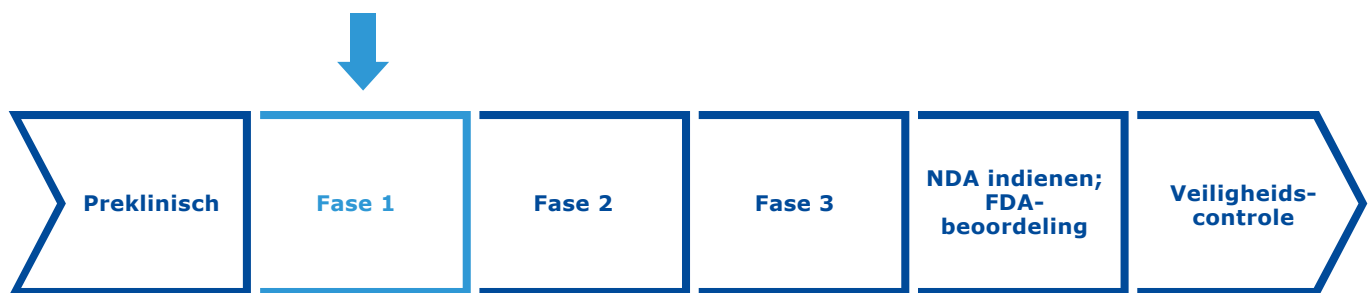
Wanneer onderzoekers een nieuw medicijn willen ontwikkelen, dan is het belangrijk om inzicht te hebben in het ziekteproces. Vervolgens ontwikkelen de onderzoekers stoffen, potentiële medicijnen, die de ziekte stoppen of het proces kunnen omkeren. Vele stoffen worden getest op mogelijk gunstige effecten voordat er uiteindelijk een potentieel werkzaam middel ontdekt wordt. Ook wordt er naar nieuwe technieken gekeken zoals genterapie. Vanaf het moment dat er een veelbelovend middel geïdentificeerd is, wordt er een goed-omschreven pad gevolgd om er zeker van te zijn dat het

potentiële medicijn veilig en effectief is op het moment dat het door de FDA toegelaten wordt tot de markt. Wanneer er neveneffecten optreden, dan dienen deze goed behandeld te kunnen worden.



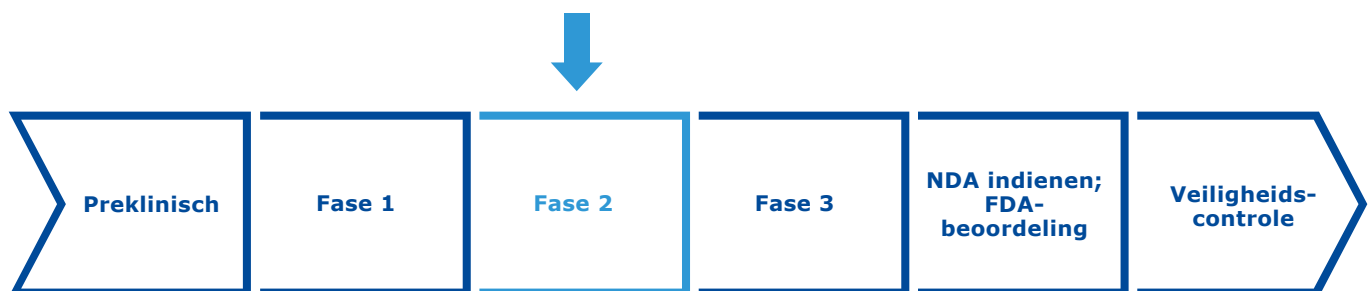
De preklinische fase

Voordat het middel op mensen getest wordt, doorloopt het stofje eerst de zogeheten preklinische fase, waarin het in modelsystemen en/of op proefdieren getest wordt. Aan de hand van dierproeven kan met redelijke zekerheid bepaald worden of het stofje veilig is voor menselijk gebruik en of het middel effectief is tegen de ziekte waarvoor het ontwikkeld is. Dit laatste wordt getest op dieren die dezelfde ziekte ontwikkeld hebben. Bij een gunstig verloop van de preklinische fase stelt het bedrijf een IND (Investigational New Drug) rapport op en legt deze voor aan de FDA. Na goedkeuring volgt de 1^e klinische fase.



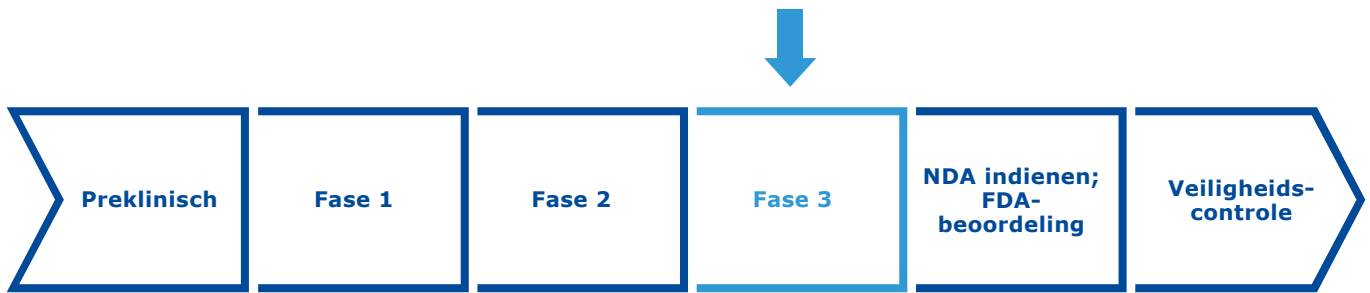
Klinische fase 1

In deze fase wordt voornamelijk de veiligheid van het potentiële medicijn onderzocht door toediening bij een beperkt aantal proefpersonen. Het bedrijf dient de wijze van productie van de pil of capsule eerst aan de FDA voor te leggen samen met een klinisch protocol dat de studie in detail beschrijft. Ook wordt in deze eerste fase onderzocht of er neveneffecten zijn en hoe het middel in het lichaam afgebroken en verwijderd wordt.



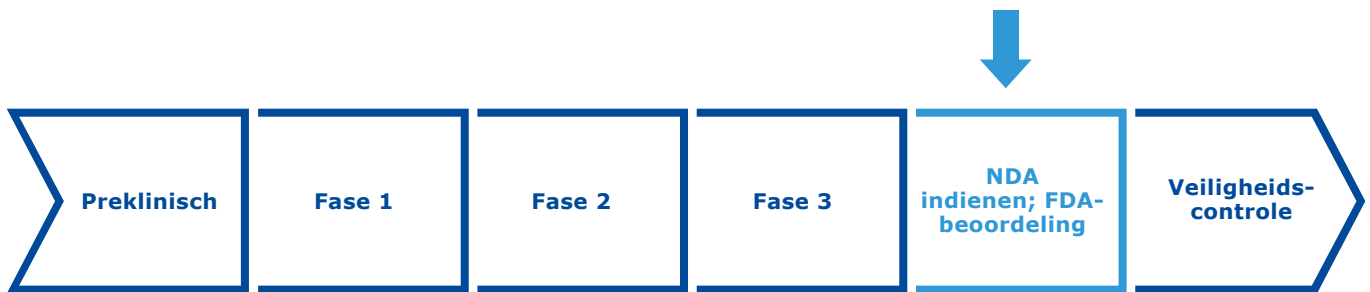
Klinische fase 2

In deze fase wordt naar de effectiviteit van het middel gekeken. Werkt het middel bij patiënten met de betreffende ziekte? De werking van het middel wordt vaak vergeleken met een placebo-effect. Is er een verschil in effect tussen de groep, die het potentiële medicijn ontvangt en de groep, die een placebo toegediend krijgt? Tijdens deze fase blijft er aandacht voor korte termijn neveneffecten.



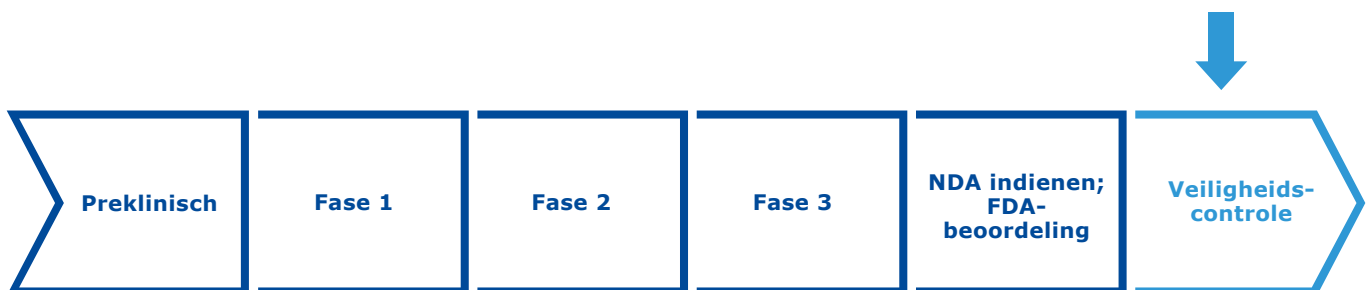
Klinische fase 3

In deze fase wordt het aantal proefpersonen opgeschaald, soms naar honderden of duizenden deelnemers. Opnieuw wordt er naar effectiviteit en veiligheid gekeken, maar ook of het middel in verschillende populaties op dezelfde manier werkt en wat het effect is van het variëren van de dosis. Daarnaast wordt er gekeken of dit middel effect heeft op de werking van andere medicijnen zoals bloeddrukverlagende middelen of medicijnen die door diabetespatiënten ingenomen worden.



NDA (New Drug Application)

In deze fase van de klinische studie dienen de onderzoekers bij de FDA-autoriteit een NDA aanvraag in. Deze aanvraag is vereist voor iedere, nieuw op de markt te brengen pil of capsule. De FDA organiseert vervolgens een bijeenkomst met experts om de belangrijkste studies te identificeren, die aantonen dat het middel daadwerkelijk effectief is voor de onderzochte ziekte. De FDA onderzoekt de studies op veiligheidsaspecten en mogelijke risico's. Ook worden de gebruikte methoden en statistiek geëvalueerd en niet-opgeloste kwesties besproken. Vereiste is ook dat het productieproces van pil of capsule reproduceerbaar is en blijft en dat de kwaliteit en de controle op de kwaliteit gegarandeerd kan worden. Ieder pil of capsule dient hetzelfde te zijn! Soms is er nog advies nodig van een speciaal voor deze gelegenheid samengestelde commissie. Het kost de FDA circa 6-10 maanden om alle informatie te bestuderen en een besluit te nemen of ze het middel al dan niet gaan goedkeuren. Soms vraagt de FDA nog om extra informatie voordat ze een besluit nemen.



Veiligheidscontrole

Nadat het middel op de markt is gebracht, blijft het middel nog langere tijd onder toezicht van de FDA staan. Dit wordt gedaan omdat op het moment dat het middel tot de markt wordt toegelaten, de kennis rondom het middel nog beperkt is. Klinische studies zijn kort van duur en worden op een

bepaalde populatie uitgevoerd. Vaak komt er nieuwe informatie beschikbaar wanneer een bredere patiëntenpopulatie het middel gebruikt. De FDA monitort mogelijk ongewenste effecten van een nieuw op de markt gebracht medicijn. Patiënten kunnen altijd met de FDA bellen wanneer zij bijverschijnselen ondervinden. Ook mantelzorgers kunnen neveneffecten rapporteren.

Wat doet de FDA niet?

De FDA ontwikkelt geen medicijnen. Dat wordt gedaan door onderzoekers werkzaam bij universiteiten of farmaceutische bedrijven. De FDA is ook niet betrokken bij klinische trials en bezoekt ook niet de locatie waar de trials plaatsvinden. Echter, onderzoekers, die geneesmiddelen willen ontwikkelen, moeten wél toestemming vragen aan de FDA om met de klinische trial te mogen beginnen. Ook zal de FDA achteraf de resultaten evalueren voordat het middel tot de markt toegelaten wordt. De FDA reguleert níet het gebruik van het medicijn. Artsen mogen het middel ook bij andere ziektes voorschrijven (het zogeheten 'off-label' gebruik). De FDA reguleert ook níet de prijs van het medicijn. Toestemming van de FDA staat los van de marktprijs. De FDA ontvangt zelfs geen enkele informatie over de prijs tijdens het evaluatieproces.

Wat is wél de rol van de FDA?

De missie van de FDA is om de publieke gezondheid te promoten. De FDA experts, hebben specialistische kennis op het terrein van medicijnontwikkeling en kunnen technische ondersteuning bieden aan de onderzoekers. Zij kunnen behulpzaam zijn bij het opzetten van klinische studies en kunnen feedback geven op plannen. De FDA experts overleggen regelmatig met bedrijven gedurende het ontwikkeltraject en zorgen ervoor dat alles op een wetenschappelijk verantwoorde manier verloopt.



Hoe bereiden we ons als patiënten voor op het overleg met de FDA op 25 september 2020?

Het eerste overleg tussen FDA en patiënten vond plaats in 2012. De FDA wilde meer input van patiënten en mantelzorgers over de betreffende ziekte en beschikbare behandelingen. De FDA zag hen als experts en wilde van hen leren. Zo kan de FDA meer afgewogen besluiten nemen over voordelen en nadelen van een behandeling, wat er gemeten moet worden tijdens een klinische trial en het opzetten van klinische trials. De stem van de patiënt is uiterst belangrijk geworden tijdens het gehele proces van medicijnontwikkeling.

Waarover wil de FDA met de patiënt overleggen?

Het belangrijkste besluit van de FDA over het al dan niet toelaten van een middel op de markt is gebaseerd op de afweging van voor- en nadelen. Wegen voordelen (altijd) zwaarder dan nadelen? Wetenschappers en klinici stellen de voor- en de nadelen vast op basis van de resultaten van klinische studies. Dat zijn echter zuiver wetenschappelijke opvattingen. Echter, de FDA wil ook de mening van de patiënt bij de besluitvorming betrekken. Afhankelijk van de zwaarte van de ziekte en de afwezigheid van behandelingen, kan er een grotere bereidheid zijn onder patiënten om het risico te aanvaarden. De bijeenkomst van 25 september is gericht op het informeren van de FDA zodat zij de voor- en nadelen op een juiste wijze tegen elkaar kan afwegen! Het gaat erom hoe de patiënt zijn of haar ziekte ervaart en wat de wensen en behoeften zijn!

De stem van de patiënt

De FDA zal tijdens de bijeenkomst van 25 september hele gerichte vragen stellen aan de deelnemers. FDA-medewerkers zullen luisteren naar de stem van de patiënt en zij zullen van jullie leren. Alle input wordt verzameld in een officieel document en zal gedeeld worden met onderzoekers en degenen die actief zijn op het terrein van medicijnontwikkeling. Het document zal informatie bevatten over wat de patiënt en de mantelzorger verwachten van een behandeling en waar zij de meeste behoefte aan hebben. Dit helpt de FDA om een besluit te nemen over toelating tot de markt.

Wat zijn de drie belangrijkste onderwerpen van het overleg?

1. Hoe beïnvloeden de symptomen je leven?
2. Hoe ga je om met de symptomen, wat gebruik je als hulpmiddel en hoe goed werkt het?
3. Wat verwacht je van toekomstige behandelingen?

Welke vragen kunnen er tijdens het symposium gesteld worden?

Leven met ADCA/SCA:

- Welke drie symptomen hebben de meeste impact op je leven?
- Hoe beïnvloedt je ziekte jou op je beste en slechtste dagen? Beschrijf deze dagen.
- Zijn er specifieke activiteiten die belangrijk voor jou zijn en die je helemaal of bijna niet meer kunt doen vanwege je aandoening?

Symptomen van de ziekte en de impact op het dagelijks leven.

- Hoe zijn je symptomen veranderd over de tijd?
- Is het kunnen omgaan met de symptomen over de tijd veranderd?

Waar ben je het meest bang voor wanneer je ouder wordt?

- Waar maak je je het meeste zorgen over met betrekking tot je conditie?
- Wat frustrereert je het meeste met betrekking tot je conditie?

Uitdagingen om met ADCA/SCA om te gaan.

- Wat doe je op dit moment om met je symptomen om te kunnen gaan?
- Wat voor effect hebben deze behandelingen op de belangrijkste symptomen?
- Wat zijn de belangrijkste nadelen van deze behandelingen en hoe beïnvloeden die je dagelijks leven?
- Wat verwacht jij van een ideale behandeling (behalve volledige genezing)?



Hoe ziet de discussie eruit?

Een panel van patiënten zal steeds een voorzet geven voor een discussie met de deelnemers aan de bijeenkomst. Enkele panelleden zullen hun eigen ervaringen beschrijven. Deelnemers kunnen op polls reageren en gebruiken hun telefoon, tablet of laptop om te reageren. De volgende stap is een discussie met de patiënten in het publiek onder leiding van een moderator.

Tips om effectief aan de discussie te kunnen deelnemen

Bedenk wat de rol is van de FDA, kijk naar de vragen die gesteld kunnen gaan worden, deel ervaringen die met de belangrijkste vragen te maken hebben, houd je antwoorden kort en gefocust. Je kan altijd achteraf nog commentaar toesturen.

Deelname aan de discussie

Dit is je kans om door de FDA gehoord te worden. Je kan een grote impact hebben op klinische studies, medicijnontwikkeling, betere besluitvorming door de FDA. Deel je ervaring tijdens deze online bijeenkomst.



De vragen van de deelnemers aan het webinar leest u op de volgende pagina >>



Vraag

Antwoord

Vragen van de deelnemers aan het webinar


Vraag 1. SCA2 is een zeer progressieve ziekte met dagelijks verlies van spiercontrole. Op dit moment lopen er een aantal klinische studies. Wat kunnen we doen om potentiële medicijnen zo snel mogelijk te laten goedkeuren?

Het is belangrijk om aan de FDA te laten weten hoe snel de spiercontrole afneemt en wat voor effect dit heeft op je kwaliteit van leven en je onafhankelijkheid. Voor de FDA is het essentieel om te weten hoe belangrijk spiercontrole voor de patiënt is en dat ze serieus aandacht moeten besteden aan potentiële geneesmiddelen die dit proces vertragen of zelfs kunnen stoppen. Je conditie verbetert wel niet, maar het stoppen of vertragen van de progressie is belangrijk voor de patiënt! Wanneer de FDA alleen middelen zou goedkeuren die je conditie verbeteren, dan gaan ze ongewild voorbij aan het belang van de patiënt.

Vraag 2. Zijn er andere manieren waarop de FDA informatie van de patiënt verzamelt?

Ja, de FDA consulteert ook individuele patiënten of hun mantelzorgers. Zij kunnen ook deelnemen aan adviescommissies, die de FDA samenstelt wanneer zij over meer informatie willen beschikken.

Vraag 3. Lopen er op dit moment klinische studies op het terrein van SCA?

Op de website **clinicaltrials.gov**  is veel informatie te vinden over klinische trials. Je kan selecteren op ziekte en je krijgt de klinische studies te zien die al voltooid zijn, degenen die ingepland worden, maar nog niet gestart zijn, en degenen die wel gestart zijn en die nog deelnemers zoeken.

Vraag 4. Kan je deelnemen aan een klinische studie wanneer de diagnose niet gesteld is?

Alleen wanneer je binnen de inclusie criteria valt. Dat zal meestal niet het geval zijn.

Vraag 5. Zijn er op dit moment medicijnen die de progressie van de ziekte stoppen?

Nee, op dit moment niet, maar er lopen wel enkele klinische studies die dat willen bereiken.

Vraag 6. Kan iedereen meedoen aan de bijeenkomst van 25 september?

Ja, dat kan. De FDA wil zeker ook graag input van deelnemers buiten Amerika. Het aantal deelnemers is onbeperkt.

Vraag 7. Kan de input van patiënten ook helpen bij besluiten over andere behandelingen zoals Deep Brain Stimulation en genterapie?

De FDA zal mogelijk ook specialisten uitnodigen op deze terreinen zodat er niet alleen gesproken wordt over farmaceutische producten zoals pillen en capsules.

Sponsors bijeenkomst d.d. 25 september 2020

De bijeenkomst wordt gesponsord door drie grote farmaceutische bedrijven, die de behandeling van erfelijke cerebellaire ataxie en de ziekte van Huntington in hun core business hebben opgenomen.





ADCA/Ataxie Vereniging Nederland

Postbus 91

4000 AB TIEL

E-mail: info@ataxie.nl

www.ataxie.nl

ADCA/Ataxie Vereniging Nederland

Betrokken en veerkrachtig

