

JPND Research Strategy

Tackling the challenge of Alzheimer's and other neurodegenerative diseases in Europe

Sažetak



JPND
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

1. Pozadina i svrha istraživačke strategije

Neurodegenerativne bolesti (ND bolesti) su progresivne i uglavnom neizlječive bolesti povezane s dobi. Među navedenim bolestima, najveći teret donose demencije, koje s Alzheimerovom bolešću i srodnim poremećajima zahvaćaju oko 7 milijuna ljudi u Europi, a očekuje se da će se ta brojka udvostručiti svakih 20 godina kako stanovništvo stari. Trenutno je cijena skrbi za osobe koje boluju od demencije u Europi 130 milijardi € godišnje, što ukazuje na to da su ND bolesti jedan od vodećih medicinskih i društvenih izazova s kojim se suočava naše društvo. Združeni europski program u istraživanju neurodegenerativnih bolesti (JPND) je inovativna istraživačka inicijativa osnovana u svrhu svladavanja izazova koje predstavljaju neurodegenerativne bolesti. Ciljevi su poboljšati učinak istraživanja usklađujući i oslanjajući se na postojeće nacionalne programe te prepoznati zajedničke ciljeve koji će imati koristi od zajedničkog europskog djelovanja. Ova istraživačka strategija osigurava okvir za buduća ulaganja i pokazuje način na koji zajednički trud europskih istraživača može najučinkovitije biti iskorišten za poboljšanje prevencije, dijagnostike, liječenja i njege bolesnika koji boluju od ovih teških bolesti.

2. Znanstveni prioriteti i aktivnosti

Znanstveni prioriteti

Da bi se postigao željeni učinak potrebno je poticati kako nove tako i multidisciplinarnе pristupe, te jačati i širiti postojeće mogućnosti cijelog spektra temeljnih, kliničkih, zdravstvenih te translacijskih istraživanja. Dosada je identificiran niz tematskih prioriteta za buduća istraživanja:

- **Podrijetlo neurodegenerativnih bolesti:** Potrebno je unaprijediti znanja u vezi uzroka pojedinih ND bolesti, čimbenika koji određuju rizik i otpornost pojedinih ljudi, te događaja koji dovode do bolesti. Istraživanje populacije izložene najvećem riziku u konačnici treba ukazati na preventivnu strategiju, što će, nadalje, zahtijevati otkrivanje novih genetskih, epigenetskih i ekoloških čimbenika rizika za ND bolesti, te procjenu njihovog međudjelovanja. Uz to, postoji potreba za boljim razumijevanjem normalnog procesa starenja te kako se on odnosi na razvoj i progresiju ND bolesti. Prepoznavanje okolišnih i bihevioralnih modulatora tih procesa također će pružiti uvid u čimbenike koji određuju zaštitu od, i otpornost prema bolesti.
- **Mehanizmi i modeli bolesti:** Potrebno je bolje i potpunije razumijevanje osnovnog mehanizma bolesti kako bi se mogao poduprijeti razvoj novih dijagnostičkih i terapijskih pristupa, te kako bi se odredilo odgovarajuće vrijeme za intervenciju. Uz postojeće pristupe koji će biti poduzeti, postoji potreba da se uspostave novi stanični i životinjski modeli koji predstavljaju ključne elemente procesa bolesti, i koji uzimaju u obzir čimbenike kao što su progresivna priroda ND bolesti, komorbiditet, spol i starenje. Bit će također potreban trud kako bi se razjasnila biološka i okolišna osnova bihevioralnih i psihičkih simptoma u ND bolestima.
- **Obilježja i dijagnoza bolesti:** Standardne kliničke procjene ne prepoznaju pretpostavljenu složenost ND bolesti, te zahtijevaju doradu i obnovu postojećih dijagnostičkih kriterija. Različiti oblici i podtipovi ND bolesti, uključujući faze prije pojave kliničkih simptoma, zahtijevaju preciznije kriterije, dok su novi ili poboljšani dijagnostički alati potrebni kako bi se omogućilo ranije i točnije otkrivanje ND bolesti. Novi biomarkeri su bitni, te bi trebali nastojati osigurati poveznicu između studija učinjenih na ljudima te onih učinjenim na životinjama, kao i pružiti mjeru progresije bolesti, prognoze i učinka liječenja. Standardizacija i harmonizacija takvih alata i procjena bit će kritična u osiguravanju usporedivosti rezultata te potpori multicentričnim studijama.
- **Liječenje i prevencija:** Napredak u otkrivanju novih elemenata bolesti i razvoj lijekova protiv njih će biti ostvaren kroz promicanje dvosmjerne povezanosti istraživanja na životinjskim modelima i stanicama te bolesnicima, dok postupci za poboljšanje odabira (ili stratifikacije) ispitanika kod ulaska u pojedina klinička ispitivanja također mogu pružiti veće šanse za pokazivanje kliničke djelotvornosti novih načina liječenja. Treba poticati na daljnji razvoj studije psihosocijalnih intervencija, pridajući pozornost promicanju socijalne uključenosti i sudjelovanju

njegovatelja, a osnivanje skupine bolesnika s pretkliničkim ND bolestima će pružiti platformu za buduća ispitivanja intervencija sa svrhom sprječavanja ili usporavanja napredovanja bolesti. Na kraju, dugoročni pristupi trebaju promicati regenerativne strategije te razvijati nove sustave za usmjeravanje lijekova na određena mjesta u mozgu i živčanom sustavu.

- **Zdravstvena i socijalna skrb:** U ovom trenutku je koordinacija između zdravstva i socijalne skrbi u pojedinim zemljama nedovoljno učinkovita, što zahtijeva procjenu pravednosti u pristupu pojedinim postupcima u dijagnozi, liječenju i skrbi za ND bolesnike diljem Europe, kao i procjenu učinkovitosti i isplativosti navedenih postupaka. Potrebno je identificirati kritične čimbenike koji utječu na invalidnost i zdravstveno-povezanu kvalitetu života (QoL) u ND bolestima, uključujući učinke komorbiditeta, prehrane i slabosti, te interakciju s obitelji, skrbnicima, okolinom, i sustavom zdravstva i socijalne skrbi. Također je potrebno spomenuti činjenicu da trenutne terapijske strategije zasnovane na dokazima u velikoj mjeri proizlaze iz intenzivnih i kratkoročnih studija koje se ne mogu lako prevesti u 'stvarni svijet', dok su mjere koje bolje odražavaju bolesnikovu i njegovateljevu perspektivu prijeko potrebne. Uz pomoć tehnologije moguće je zadovoljiti pojedine potrebe bolesnika s ND bolestima, te njihovih njegovatelja, kako u ranoj tako i u umjerenj fazi bolesti, iako se veći naglasak treba staviti na rješavanje specifičnog tereta ND bolesti, za razliku od usmjeravanja na starenje u cjelini. Također treba poduzeti daljnja istraživanja u vezi informiranja palijativne skrbi i skrbi na kraju života, koje bi zajedno s drugim područjima ND istraživanja, na odgovarajući način trebale integrirati istraživanje u složena etička pitanja koja se odnose na ND bolesti.

Aktivnosti

Bit će potreban niz aktivnosti kako bi se ostvario napredak u prethodno navedenim znanstvenim temama:

- **Poznavanje vlastitih istraživačkih mogućnosti:** Na nacionalnoj i europskoj razini istraživačke djelatnosti vezane uz ND bolesti su mapirane, kako bi prepoznali manjkavosti, te otkrili mogućnosti koje se mogu otvoriti kroz poboljšanu koordinaciju i ulaganja. Time je postavljen temelj javne baze podataka koja će izvještavati o aktualnim istraživanjima diljem Europe i promicati bolje korištenje izvora i infrastrukture.
- **Potporna infrastruktura i platforme:** U potrazi za stvaranjem poticajnog okruženja za istraživanja ND bolesti, postoji potreba za poticanjem integracije i harmonizacije podataka i materijala, te promicanjem otvorenog pristupa kod njihove uporabe. Potrebno je promicati standardizirane smjernice, metode i alate za prikupljanje i analizu podataka kako bi se, na primjer, bolje ispunili zahtjevi tehnoloških platformi i biobankinga, te bolje iskoristile skupine stanovništva. Politički okviri trebaju biti evaluirani kako bi se olakšalo istraživanje u cijelom nizu zdravstvenih struktura, uključujući opće bolnice te primarnu skrb i skrb u zajednici.
- **Rad u partnerstvu s gospodarstvom:** Mnoge različite komercijalne organizacije surađuju u istraživanju ND bolesti, u rasponu od farmaceutskog, dijagnostičkog i biotehnološkog sektora do pružatelja usluga uzdržavanja. Veza između akademske i komercijalne domene je bitna kako bi omogućila nove pristupe u liječenju i njezi. Treba poticati razmjenu podataka i izvora između industrije i akademske zajednice.
- **Rad s regulatornim organizacijama:** Promicanje učinkovite implementacije rezultata istraživanja u svrhu liječenja bolesnika zahtijeva angažman i suradnju s ključnim europskim i nacionalnim regulatornim agencijama kako bi se osiguralo da je regulacija istraživačima razumljiva i da je razmjerna riziku. Regulatorne mreže potpore moraju biti unaprijeđene kako bi osigurale pristup smjernicama, koje mogu informirati o dizajnu studija i potencijalnim uskim grlima u ranoj fazi.
- **Međunarodna partnerstva izvan Europe:** Poznato je da postoji globalna potreba za unaprijeđenjem liječenja ND bolesti te da je utjecaj ND bolesti na društvo svjetski problem. Stoga se u ovom području mogu pojaviti brojne prilike za povezivanjem širom svijeta. Takva suradnja treba biti strateški usmjerena i jasno ponuditi dodatnu vrijednost JPND ciljeva.

- **Izgradnja kapaciteta:** Određena područja istraživanja trpe nedostatak kapaciteta i trebaju biti ojačana. Sukladno tome, mreža treba uključivati sve istraživače i discipline, a poseban trud je potreban za promicanje kliničkih istraživača i translacijskih stručnjaka, te povećanje broja istraživača ND bolesti, s ekspertizom u zdravstvenoj ekonomiji, statistici, računalnoj biologiji i bioinformatici. Kako bi se osiguralo da je izvrsnost u području zdravstva i socijalne skrbi upostavljena širom Europe, mogu biti stvorena metodološka čvorišta koja bi osigurala podršku izradi studija te evaluaciji intervencija, usluga i skrbi.
- **Obrazovanje i osposobljavanje:** Savjeti za bolesnike s ND bolestima od strane zdravstvenih profesionalaca i djelatnika socijalne skrbi trebali bi se temeljiti na dobrom razumijevanju poremećaja, pacijentovim potrebama karakterističnim za ovo stanje te raspoloživim mogućnostima za liječenje temeljenim na dokazima. Kliničko i istraživačko obrazovanje i osposobljavanje trebaju biti prilagođeni promicanju modernog pristupa te trebaju nastojati ugraditi istraživačku kulturu u cjelokupni spektar zdravstvene i socijalne skrbi. Uz to, postoji potreba za promicanjem javnozdravstvene poruke kako bi se ublažili faktori rizika za ND bolesti koji su povezani s nezdravim načinom života. Javnozdravstvena poruka mora biti podržana od strane istraživanja koja će dati savjet kako najbolje promijeniti ponašanje na populacijskoj razini.
- **Veza sa kreatorima politike:** JPND će pružiti okvir kroz koji se ističu pitanja od značaja za nacionalnu politiku, te ona koja bi trebala promicati kompatibilnost između političkih pristupa različitih zemalja. Dva nedostatka u odnosu prema ND bolestima moraju biti riješena: implementacija novih tehnologija, na primjer, u području telemedicine ili postupcima s nemoćnim pacijentima, te učinkovita implementacija rezultata istraživanja u javnozdravstvenu politiku.
- **Komunikacija i širenje poruka:** Za učinkoviti prijenos poruka u zakonodavstvo i praksu, strateški program istraživanja se mora uključiti u široki raspon sektora. JPND će osigurati da su sve uključene strane dobro informirane o tijeku istraživanja ND bolesti i njegovim rezultatima, povećavajući svijest i potporu za istraživanje ND bolesti među donositeljima odluka, pacijentima, te organizacijama njegovatelja, pacijenata i javnosti. To bi također trebalo pomoći da se poveća sudjelovanje u istraživanju te smanji stigma vezana uz ND bolesti.

3. Ostvarivanje istraživačke strategije

Istraživačka Strategija pruža okvir mogućnosti za zemlje uključene u JPND koje su spremne sudjelovati u zajedničkim akcijama, a koje će se provoditi kroz zajedničke aktivnosti koje povezuju nacionalna ulaganja sa svrhom povećanja učinka te stjecanja novih sredstava. Misao vodilja za njenu provedbu jest da istraživanja koja treba podržati pripadaju najvišoj znanstvenoj kategoriji.

4. Sažetak

JPND predstavlja originalan i inovativan primjer udruživanja u svrhu koordiniranog djelovanja, te je kao takav nov i fleksibilan pristup rješavanju glavnih društvenih izazova koji ne mogu biti riješeni samo putem nacionalnih programa. Ovaj dokument utvrđuje zajedničku viziju 24 europske zemlje i pruža strateški pristup u podršci istraživanju najviše kvalitete koje može prepoznati i iskoristiti trenutne znanstvene mogućnosti, suočiti se s preprekama za napredak i pružiti nove pristupe u prevenciji, intervenciji i njezi. Preporuke navedene u Strategiji istraživanja navode puni spektar istraživanja i pristupa koji su potrebni za postizanje učinka te prepoznaju važnu ulogu svih uključenih strana u ostvarivanju tog plana. Krajnji cilj je da se rezultati istraživanja iskoriste u oblikovanju novih postupaka koje poboljšavaju zdravlje i dobrobit bolesnika s ND bolestima, njihovih obitelji i njegovatelja, te da donose ekonomsku i društvenu korist Europskoj Uniji.