

# JPND Research Strategy

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

## Shrnutí



**JPND**  
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

## 1. Kontext a účel výzkumné strategie

Neurodegenerativní onemocnění (NDO) představují vysilující a z větší části neléčitelný stav, který je výrazně věkově závislý. Demence, která je jedním z projevů NDO, představuje největší zátěž související s těmito chorobami. Alzheimerovou chorobou a souvisejícími poruchami trpí v Evropě přibližně 7 milionů lidí, přičemž se očekává, že s tím, jak populace stárne, se tento počet každých 20 let zdvojnásobí. V současnosti činí náklady na léčbu pacientů s demencí v Evropě cca 130 miliard eur ročně, což dokládá, že neurodegenerativní onemocnění související s věkem jsou jedním z hlavních lékařských a společenských problémů, jimž naše společnost čelí.

Společný program EU Výzkum neurodegenerativních onemocnění - The EU Joint Programme - Neurodegenerative Disease Research (JPND) je inovativní spolupráce ve výzkumu, jejímž záměrem je reagovat na narůstající problémy, které neurodegenerativní onemocnění představují. Záměrem tohoto programu je zvýšit dopad výzkumu sladěním stávajících programů probíhajících v jednotlivých zemích, navázat na ně a najít společné cíle, pro něž by byl společný postup přínosem. Tato výzkumná strategie poskytuje rámec pro budoucí investice a zabývá se tím, jak může být evropský výzkum co nejučinněji provázán, aby se zlepšila prevence, diagnóza, léčba a péče o pacienty trpící tímto vysilujícím stavem.

## 2. Vědecké priority a předpoklady

### Vědecké priority

Aby se dosáhlo hmatatelného dopadu, je zapotřebí podporovat nové a multidisciplinární přístupy a též posilovat a rozšiřovat stávající znalosti jdoucí napříč celým spektrem základního, klinického, zdravotního, sociálního a aplikovaného výzkumu. Pro budoucí výzkum bylo stanoveno několik tematických priorit:

- **Původ neurodegenerativních onemocnění (NDO):** Je zapotřebí získat další znalosti o příčinách vzniku konkrétních NDO, o faktorech ovlivňujících riziko a odolnost lidí i o spouštěcích mechanismech, které tato onemocnění způsobují. Popis ohrožených skupin obyvatelstva by měl vést k následnému vypracování strategií prevence. Mimoto bude zapotřebí i další výzkum, který povede k odhalení nových genetických, epigenetických a environmentálních rizikových faktorů NDO a který posoudí také jejich vzájemné interakce. Kromě toho je zapotřebí lépe porozumět normálnímu procesu stárnutí a jeho vazbě na vývoj a progresi NDO. Identifikace environmentálních a behaviorálních faktorů těchto procesů nám poskytne informace i o faktorech zajišťujících ochranu před onemocněním a odolnost vůči němu.
- **Mechanismy a modely onemocnění:** Pro vývoj nových diagnostických a terapeutických přístupů je nezbytné lépe porozumět mechanismům stojícím v pozadí těchto onemocnění a určit vhodné terapeutické okno. Kromě rozličných stávajících přístupů je potřeba vypracovat nové buněčné a zvířecí modely, které budou přesně reprezentovat klíčová stadia onemocnění a které zohlední i faktory, jako je progresivní povaha NDO, komorbidita, pohlaví pacienta a stárnutí. Je též zapotřebí objasnit biologické a environmentální kořeny behaviorálních a psychologických symptomů NDO.
- **Definice a diagnóza onemocnění:** Běžné klinické hodnocení zpravidla nezachytí předpokládanou komplexnost běžných NDO, a proto je zapotřebí zdokonalit a zaktualizovat stávající diagnostická kritéria. Rozmanité formy a podtypy NDO včetně stadií před vznikem klinických symptomů vyžadují lepší definici. Potřebujeme nové či lepší

diagnostické nástroje, abychom byli schopni NDO včasněji a přesněji detekovat. Klíčové jsou v tomto ohledu nové biomarkery, jejichž cílem by mělo být poskytnout pojitko mezi studiemi na lidském a zvířecím materiálu a metodami pro měření progresu onemocnění, prognózy a účinků léčby. Standardizace a harmonizace výše uvedených nástrojů a hodnocení bude klíčová pro zajištění srovnatelnosti výsledků i pro podporu multicentrických studií.

- **Léčba a prevence:** Podpora obousměrného propojení studií prováděných na zvířecích a buněčných modelech i na pacientech napomůže pokroku při určování nových cílů a při vývoji léků. Stejně tak postupy pro lepší výběr (či stratifikaci) subjektů účastnících se klinických studií by mohly napomoci lépe prokázat klinickou účinnost nové léčby. Studie by se také měly zabývat dalším rozvojem psychosociální intervence a klást důraz na podporu začlenění pacienta do společnosti a na zapojení pečovatele. Vytvoření kohort pacientů s preklinickými NDO by poskytlo platformu pro budoucí testování intervencí majících zajistit buď prevenci onemocnění, anebo zpomalit jeho postup. V neposlední řadě by se měly volit dlouhodobější přístupy zaměřené na podporu regenerace, kde se budou vyvíjet nové systémy pro podávání a cílení léků a biologických léčiv do konkrétních míst v mozku a v nervovém systému.
- **Zdravotnictví a sociální péče:** V současnosti není v jednotlivých zemích účinně koordinováno zdravotnictví se sociální péčí, a proto je nutné vyhodnotit rovnost přístupu, efektivitu, finanční náročnost, diagnostiku, léčbu, péči a podporu pacientů trpících NDO v celé Evropě. Je zapotřebí určit klíčové faktory mající dopad na postižení a na kvalitu života související se zdravím, a to včetně účinků komorbidit, výživy a slabosti, která se váže k neurodegenerativním onemocněním, a též se zabývat interakcemi s rodinou, pečovateli, prostředím a systémem zdravotnictví a sociální péče. Rovněž je nezbytné řešit to, že stávající důkazy, z nichž vycházejí léčebné postupy, jsou zpravidla výsledkem intenzivních a krátkodobých studií, které ovšem nelze bezprostředně promítnout do reálného světa. Zároveň je potřeba lépe měřit výsledky, aby lépe odrážely pohled pacienta a pečovatele. Také technologie v oblasti podporovaného bydlení mohou napomoci řešit potřeby pacientů trpících NDO i jejich pečovatelů v rané fázi onemocnění s mírnou intenzitou. Větší důraz by se však měl klást na řešení specifické zátěže, kterou NDO představují, spíše než na stárnutí obecně. Další výzkum by se též měl zabývat paliativní péčí a péčí o dožívající pacienty rukou v ruce s dalšími oblastmi výzkumu NDO. Výzkum by se měl vhodným způsobem včlenit do komplexních etických zřetelů týkajících se NDO.

## Předpoklady

Aby bylo možné dosáhnout pokroku ve vědeckých tématech uvedených výše, je zapotřebí i několik průřezových činností:

- **Znalost našich výzkumných kapacit:** Bylo provedeno mapování výzkumné činnosti na poli NDO jak na národní, tak i na evropské úrovni, aby se zjistily existující mezery ve výzkumu a aby bylo možné zlepšit koordinaci a investice a tyto příležitosti využít. Výše uvedené je základem veřejné databáze, v níž bude uveden probíhající výzkum v oblasti NDO v celé Evropě. Tato databáze bude rovněž napomáhat lepšímu využití zdrojů a infrastruktury.
- **Podpůrná infrastruktura a platformy:** Ve snaze vytvořit vhodné prostředí pro výzkum NDO musíme podporovat i integraci a harmonizaci dat a materiálů spolu s otevřeným přístupem k jejich využívání. Měly by se podporovat např. standardizované pokyny, metodologie a nástroje pro sběr a analýzu dat za účelem zajištění požadavků na technologické platformy s vysokou propustností dat a na banky biologických materiálů. Také by



se měly lépe využívat populační kohorty. Měly by se zrevidovat rámcové strategie a měl by se umožnit výzkum napříč všemi strukturami ve zdravotnictví včetně všeobecných nemocnic a primární a komunitní péče.

- **Partnerská spolupráce s průmyslem:** Do výzkumu NDO se zapojuje i celá řada komerčních organizací, počínaje farmaceutickým, diagnostickým a biotechnologickým odvětvím a konče poskytovateli podporovaného bydlení, zdravotních služeb a domácí péče. Propojení vědecké a komerční sféry je pro zajištění nových přístupů k léčbě a péči zásadní. Měla by se rovněž podporovat výměna dat a zdrojů mezi průmyslem a vědeckou sférou.
- **Spolupráce s regulátory:** Podporování účinné aplikace vědeckých poznatků v praxi pro dobro pacienta vyžaduje zapojení a spolupráci s předními evropskými regulátory i subjekty na úrovni jednotlivých států, aby se zajistilo, že pro vědce bude právní úprava snadno srozumitelná a úměrná ve vztahu k riziku. Měly by se podporovat sítě poskytující regulatorní podporu a měly by být dostupné také pokyny informující o záměru studií a řešící možné problémy již v rané fázi.
- **Mezinárodní partnerství i za hranicemi Evropy:** Je zřejmé, že nesplněné klinické potřeby a společenské dopady NDO představují celosvětový problém a že se může objevit příležitost napojit se na celosvětový výzkum v této oblasti. Tato spolupráce by měla být strategicky řízená a měla by nabízet jasnou přidanou hodnotu k cílům společného programu EU Výzkum neurodegenerativních onemocnění.
- **Budování kapacit:** V jistých oblastech výzkumu chybí kapacity a je zapotřebí je posilovat. Ruku v ruce s tím by se měly vytvářet sítě napříč jednotlivými vědními odvětvími a výzkumnými pracovníky, přičemž podpora by se měla poskytovat zejména klinickým výzkumným pracovníkům a odborníkům na aplikaci v praxi. Měl by se zároveň zvyšovat počet výzkumných pracovníků na poli NDO se specializací na ekonomii zdravotnictví, statistiku, počítačovou biologii a bioinformatiku. Aby se zajistila excelence ve zdravotnictví i sociální péči v celé Evropě, mohla by se za tímto účelem zřídit metodická centra věnující se práci na studiích a vyhodnocování intervencí, služeb a péče.
- **Vzdělávání a školení:** Poradenské služby poskytované pacientům trpícím NDO ze strany různých zdravotnických i sociálních pracovníků by měly vycházet z dobré znalosti tohoto onemocnění, potřeb pacienta s touto poruchou a dostupných možností léčby. To by měly dále podporovat programy klinického a výzkumného vzdělávání a školení šité na míru recipientům. Jejich cílem by mělo být pevně zakotvit kulturu výzkumu do celého spektra zdravotní a sociální péče. Mimoto je zapotřebí podporovat i osvětu v oblasti veřejného zdraví, aby se pokud možno omezovaly rizikové faktory NDO související s nezdravým životním stylem. Osvěta v oblasti veřejného zdraví musí být podložena výzkumem věnujícím se tématu, jak nejlépe dosáhnout behaviorální změny na úrovni populace.
- **Vazba na osoby v rozhodovacích pozicích:** Společný program EU Výzkum neurodegenerativních onemocnění poskytne rámec poukazující na důležitá témata, která by se mohla stát součástí jednotlivých politik a která by mohla vést k větší srovnatelnosti přístupů jednotlivých zemí. Na poli NDO je zapotřebí řešit dvě aplikační mezery, zaprvé zajistit implementaci nových technologií či postupů např. v oblasti telemedicíny, případně podporovaného bydlení či poskytování služeb, a zadruhé se snažit zaručit, aby byly výsledky výzkumu účinně promítnuty do politiky veřejného zdraví.
- **Komunikace a dosah:** S ohledem na zajištění účinného promítnutí do daných politik a aplikace v praxi se musí program výzkumu propojit s celou řadou odvětví a zapojit se do nich. Společný program EU Výzkum neurodegenerativních onemocnění zajistí, aby byly všechny zainteresované subjekty o probíhajícím výzkumu NDO a o jeho výsledcích dobře informovány, čímž se zvýší povědomí a podpora pro výzkum NDO mezi osobami v rozhodovacích pozicích i mezi pacienty, patientskými organizacemi, organizacemi sdružujícími pečovatele a v neposlední řadě mezi veřejností. Mělo by to rovněž napomoci zvýšit zapojení do výzkumu a snížit stigma pojící se s NDO.

### **3. Realizace výzkumné strategie**

Výzkumná strategie předkládá rámec možností pro země zapojené do společného programu EU Výzkum neurodegenerativních onemocnění a ochotné účastnit se společných akcí, které se budou realizovat prostřednictvím spolupráce (sladňování či propojování investic na národní úrovni s cílem dosáhnout vyššího dopadu) a poskytováním nového financování. Principem při realizaci je to, že podporovaný výzkum musí být té nejvyšší vědecké kvality.

### **4. Shrnutí**

Společný program EU Výzkum neurodegenerativních onemocnění je průkopnickým příkladem společného programování, což je nový a flexibilní přístup schopný řešit zásadní společenské problémy, jež není možné vyřešit jen pomocí programů na národní úrovni. V tomto dokumentu je předestřena společná vize 24 zapojených evropských zemí a rovněž strategický přístup k podpoře špičkového výzkumu, který umí využívat nově se objevující vědecké příležitosti, reagovat na překážky stojící v cestě pokroku a poskytovat nové přístupy k prevenci, léčebným postupům a péči. Doporučení nastíněná v této výzkumné strategii se dotýkají celého spektra výzkumu a přístupů nezbytných pro zajištění dopadů výzkumu. Důležitá úloha při naplňování programu je přiznána i ostatním zainteresovaným subjektům. Hlavním cílem je provádět výzkum, který je možné promítnout do nových léčebných postupů, které budou zlepšovat zdravotní stav pacientů trpících NDO a mít pozitivní vliv i na jejich rodiny a pečovatele a které rovněž budou hospodářským i společenským přínosem v celé Evropské unii.

[www.neurodegenerationresearch.eu](http://www.neurodegenerationresearch.eu)