

# JPND Research Strategy

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

Resumé på dansk



**JPND**  
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

## 1. Baggrund og formål for forskningsstrategien

Neurodegenerative sygdomme (ND) er invaliderende og oftest uhelbredelige sygdomme, der er stærkt korreleret til alder. Demenssygdomme, det vil sige neurodegenerative sygdomme, hvor demens udgør hovedsymptomet, står for en stor del af sygdomsbyrden. I Europa lever ca. 7 mio. mennesker med Alzheimers sygdom og andre beslægtede demenslidelser. Dette tal forventes at blive fordoblet hvert 20. år, da andelen af ældre i den europæiske befolkning stiger. Det anslås, at udgifterne til demenssygdomme i Europa er ca. 130 milliarder Euro årligt på nuværende tidspunkt. Beløbets størrelse understreger, at de aldersrelaterede ND er en af de største medicinske og samfundsmæssige udfordringer, som vores samfund står overfor.

Det fælles europæiske forskningsprogram (Joint Programming Initiative) – indenfor neurodegenerative sygdomme (JPND) - er et innovativt forskningssamarbejde, hvis formål er at løse de ovenfor nævnte udfordringer.. JPND sigter mod at øge effekten af forskningen ved bl.a. at samle, opbygge og udbygge allerede eksisterende nationale programmer samt at opstille fælles mål på tværs af landegrænser. Forskningsstrategien giver en ramme for fremtidige forskningsinvesteringer, og bygger på hvordan den europæiske forskningsindsats mest effektivt udnyttes til at forbedre forebyggelse, diagnosticering, behandling og pleje indenfor neurodegenerative lidelser.

## 2. Videnskabelige prioriteter og forskningsmæssige rammevilkår

### Videnskabelige prioriteter

Den ekstra værdi ved et fælles-europæisk forskningssamarbejde (Joint Programming Initiative) baserer sig dels på at udvikle og anvende nye metoder, at styrke det tværfaglige – translationelle - arbejde og på at binde den, i forvejen eksisterende, kapacitet sammen, der findes indenfor områderne grundlæggende forskning, klinisk forskning, sundheds- og socialtjenesteforskning. Som resultat af udarbejdelsen af en fælles europæisk forskningsstrategi er følgende tematiske prioriteter for fremtidig forskning blevet identificeret i JPND:

- **Årsagen til neurodegenerative sygdomme:** Der er et behov for en øget viden omkring årsagerne til oprindelsen af ND herunder de faktorer, der bestemmer det enkelte menneskes risiko og modstanddygtighed og de udløsende begivenheder, der fører til sygdom. En karakterisering af "udsatte" individer skal lede til forebyggende strategier til identificering af nye genetiske, epigenetiske og miljømæssige risikofaktorer for ND. De enkelte risikofaktorerers samspil bør således belyses. Sideløbende hermed er der et behov for at forstå den normale aldringsproces, og hvordan denne proces er korreleret med udvikling og progression af ND. Identifikation af miljø- og adfærdsmæssige processer vil også give en indsigt i, hvilke af disse faktorer der er afgørende for beskyttelse mod sygdom.
- **Sygdomsmekanismer og modeller:** En bedre forståelse af de underliggende sygdomsmekanismer er nødvendig for at understøtte udviklingen af nye diagnostiske og terapeutiske metoder, samt for at identificere passende intervaller for intervention. Blandt de mange tiltag der skal forfølges, er der et særligt behov for at etablere celle- og dyre-baserede modeller, der kan repræsentere centrale elementer i sygdomsforløbet. Det er ønskeligt, hvis modellerne tager højde for faktorer såsom den progressive karakter af ND, komorbiditet, køn og aldring. Der vil også være behov for at belyse de biologiske og miljømæssige påvirkninger af adfærdsmæssige og psykologiske symptomer på ND.
- **Sygdoms- definitioner og -diagnose:** De nuværende standardiserede kliniske undersøgelser tager ikke hensyn til den kompleksitet, der er forbundet med ND. Der er således et behov for at raffinere og udvikle de nuværende diagnostiske kriterier og værktøjer. De forskellige former og undertyper af ND, inklusiv de trin der ligger forud for de kliniske symptomer, kræver bedre definitioner, ligesom nye og forbedrede diagnostiske værktøjer er nødvendige for mere sikkert at kunne påvise ND. Nye biomarkører er afgørende herfor, og der bør forskes i at finde sammenhænge mellem menneske og dyr-baserede studier. Det vil være ønskeligt at udvikle markører, der


kan benyttes til at stille en diagnose, belyse sygdoms progression, give en prognose og som kan måle effekten af behandlingen. Standardisering og harmonisering af disse markører vil være afgørende for at sikre sammenligneligheden af resultater på tværs af center studier.

- **Behandling og Forebyggelse:** Der er et behov for at styrke identificeringen og udviklingen af nye mulige lægemidler. Dette skal bl.a. ske ved at fremme vekselvirkningen af resultater mellem studier lavet i dyre- og celle-modeller og patienter. Ligeledes skal procedurerne for udvælgelse og stratificering af personer til kliniske forsøg forbedres. Dette vil øge sandsynligheden for at kunne påvise en effekt af nye behandlinger. Studier til udvikling af psykosociale interventioner bør også styrkes, og der bør være særlig opmærksomhed på sociale faktorer og inddragelse af plejere og pårørende. Etablering af patientkohorter med prækliniske tegn på ND vil danne grundlag for en platform til afprøvning af interventioner med henblik på at forhindre eller bremse sygdommens udvikling. Endelig bør der tages initiativer til langsigtede løsninger, der fremmer regenerative processer og udvikling af nye systemer til målretning af dosering af lægemidler og biologiske produkter til bestemte steder i hjernen og nervesystemet.
- **Sundhed og sociale ydelser:** Der skal etableres en bedre koordinering mellem sundheds- og socialvæsenet i de enkelte lande. Dette forudsætter en evaluering af adgangen til og omkostningseffektiviteten af muligheden for diagnosticering, behandling, pleje og støtte for ND i hvert af de europæiske lande og for hele Europa. Der er et behov for at identificere de kritiske faktorer, som har en indvirkning på handicap og sundhedsrelateret livskvalitet i forbindelse med ND. Dette omfatter virkningerne af komorbiditet, ernæring og skrøbelighed, og samspillet med og mellem familie, plejere, miljø, sundhed og socialvæsenet. Yderligere er det nødvendigt at tage i betragtning, at det aktuelle evidensgrundlag for de terapeutiske strategier stammer fra intensive og kortvarige undersøgelser, som ikke nødvendigvis afspejler virkeligheden. Undersøgelser der belyser patientens eget og plejeres input bør igangsættes. Udvalgte velfærdsteknologier kan bidrage til at løse de behov og udfordringer, som hjælpere og patienter med ND i både tidlig og moderat sygdomsstadie har. Der bør lægges større vægt på at forstå spektret i sammenhængen mellem ND og aldring. Yderligere bør forskning også inkludere palliativ indsats og end-of-life pleje for patienter med ND. Disse områder bør sammen med andre områder indenfor ND forskning integrere forskning i de komplekse etiske spørgsmål i forbindelse med ND.

## Forskningsmæssige rammevilkår og indsatser

Som led i udarbejdelsen af den fælles europæiske forskningsstrategi er der identificeret en række tværgående rammevilkår og indsatser med henblik på at virkeliggøre de videnskabelige prioriteter:

- **Kendskab til den eksisterende forskningskapacitet:** Forskningsaktivitet indenfor ND området på nationalt såvel som i EU er blevet kortlagt for herigennem at identificere de områder, hvor der er behov for mere forskning. Ydermere er det ønskeligt at identificere områder, hvor en forbedret koordinering og investering kan bidrage til løsninger. Behovet for viden om den tilgængelige forskningskapacitet danner grundlag for etablering af en offentlig tilgængelig database i regi af JPND, hvor igangværende forskning indenfor ND på tværs af Europa vil blive tilgængeligt. Dette danner grundlag for en bedre udnyttelse af ressourcer og infrastruktur.
- **Understøttende infrastruktur og platforme:** Et gunstigt miljø for ND forskning kan skabes ved mere integration, harmonisering og udveksling af data og materialer - åben adgang til data. Standardiserede retningslinjer, metoder og værktøjer til dataindsamling og analyse bør fremmes, for eksempel, til at adressere behovet for high-throughput teknologiplatforme og biobanker, og for bedre at udnytte befolkningskohorter. Sundhedspolitiske rammer bør gennemgås for at fremme forskningen inden for hele spektret af sundhedsydelser strukturer inklusiv hospitaler og pleje.
- **Arbejde i partnerskab med erhvervslivet:** Mange kommercielle organisationer er allerede involveret i ND forskning spændende fra farmaceutiske, diagnostiske og bioteknologiske sektorer til producenter af velfærdsteknologi og leverandører af sundhedsydelser, herunder bl.a. hjemmeplejen. Et større samarbejde mellem den akademiske sektor og den industrielle sektor er af afgørende betydning for at udvikle nye



behandlinger og plejetilbud. Data- og materiale-udveksling mellem erhvervslivet og forskning ved universiteter og i sundheds og socialvæsnet bør således tilskyndes og fremmes.

- **De regulerende rammer for forskning:** Forskning reguleres ved en lang række direktiver og lignende. For at fremme en effektiv udnyttelse af forskning til patientens gavn kræves samarbejde og engagement mellem de vigtigste europæiske og nationale regulerende organer. Det skal sikre en høj grad af gennemsigtighed og gøre det let for forskere at forstå og udnytte den viden, der er tilgængelig i bl.a. registre. Særlige netværk bør støttes for at give adgang til nødvendig vejledning, som kan oplyse om muligheder for design og adressere potentielle flaskehalse på et tidligt stadium.
  - **Internationale partnerskaber uden for Europa:** De samfundsmæssige virkninger af ND er et globalt problem. Muligheder, der opstår, for at inddrage verdensomspændende forskning, er der en særlig opmærksomhed på i JPND. Et sådant samarbejde bør være strategisk og byde på en klar merværdi for opfyldelse af JPNDs mål.
  - **Kapacitetsopbygning:** Visse områder af forskning mangler humane ressourcer og skal derfor styrkes. Det kan bl.a. ske ved etablering af netværk på tværs af discipliner og forskere. En særlig indsats er nødvendig for at fremme kapaciteten af kliniske og translationelle forskere. Desuden er det afgørende, at øge antallet af ND forskere med ekspertise i sundhedsøkonomi, statistik, datamatisk biologi og bioinformatik. Endeligt er det afgørende, at sådanne europæiske kompetencecentre bredt står til rådighed for europæisk forskning indenfor ND:
  - **Uddannelse:** Det personale der står for undersøgelse, behandling og vejledning af patienter med ND bør sikres en god forståelse af sygdommen, patientens behov, og have adgang til evidensbaserede muligheder for behandling. Såvel klinisk som forskningsfagliguddannelse bør styrkes for at opnå dette: Bærende herfor bør være en forsknings-kultur på tværs af hele spektret af social- og sundhedsområdet. Sideløbende hermed er der et behov for at fremme folkesundheden for at afhjælpe risikofaktorer for ND, der er forbundet med en livsstil der indebærer risiko for udvikling af ND. Folkesundhed skal støttes af forskning i, hvordan man bedst gennemfører en adfærdændring på befolkningsniveau.
  - **Betydning for politikere:** JPND vil levere en ramme, hvorigennem vigtige spørgsmål til brug for nationale politikere vil blive bearbejdet og søgt belyst. Dette skal fremme kompatibilitet mellem de politiske dagsordener i de forskellige lande. To vigtige huller i forskningspolitik med relation til ND skal løses: For det første i implementeringen af nye teknologier eller metoder, for eksempel inden for telemedicin, og for det andet i at sikre, at forskningsresultaterne hurtigt og effektivt overføres til den offentlige sundhedspolitik.
  - **Kommunikation og formidling:** For at opnå en effektiv politisk dagsorden og praksis, skal dagsordenen for forskning forbinde og engagere en bred vifte af sektorer. JPND vil sikre, at alle de berørte sektorer og interessenter i hvert af de europæiske lande er velinformeret om igangværende ND forskning og dens resultater. Ligeledes vil JPND øge opmærksomheden om ND og støtte til forskning blandt beslutningstagere, patienter og plejere. Dette bør lede til en øget forskningsindsats, ny viden til gavn for de der rammes af ND og til en reduktion af den stigmatisering der er knyttet til ND.
- 



### **3. Forsknings-strategiens etablering og betydning for det enkelte deltagende land**

Forsknings-strategien giver en ramme af muligheder for at de lande, der har tilsluttet sig JPND og aktivt deltager i fælles indsats, kan øge og fokusere deres forskningsindsats indenfor ND. De nationale forskningsinvesteringer giver en øget indflydelse på en fælleseuropæisk forskning og øger muligheden for tilvejebringelse af nye midler. Et ledende princip er, at den forskning der skal støttes, vil blive og skal være af højeste videnskabelige kvalitet.

### **4. Resumé**

JPND er et nyt, fælles europæisk forskningsprogram for neurodegenerative sygdomme, der fleksibelt ønsker at løse de væsentlige samfundsmæssige udfordringer forbundet med disse sygdomme, og som ikke kan løses gennem nationale programmer alene. Demenssygdomme står for en stor del af sygdomsbyrden. Dokumentet indeholder den fælles vision for de 24 europæiske involverede lande, og giver en strategisk tilgang til at støtte forskning i verdensklasse og udnytte nye videnskabelige muligheder bedre. Anbefalingerne beskrevet i Forskningsstrategien dækker hele spektret af forskning og tilgange, der er nødvendige for at opnå den ønskede effekt. Den anerkender den vigtige rolle, andre interessentgrupper har i at bidrage til denne dagsorden. Det ultimative mål er, at forskningen kan omsættes til nye indsats, der forbedrer sundhed og livskvalitet for patienter med ND, deres familier og plejere, og som giver økonomiske og samfundsmæssige fordele til hele den europæiske befolkning.

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

