

# JPND Research Strategy

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

## Tiivistelmä



**JPND**  
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

## 1. Tutkimusstrategian tausta ja tavoite

Hermoston rappeutumissairaudet ovat vahvasti ikääntymiseen liittyviä, terveyttä heikentäviä ja parantumattomia sairauksia. Näistä dementiat aiheuttavat suurimman tautitaakan. Alzheimerin tautia ja muita demencioita sairastavia on Euroopassa noin 7 miljoonaa, ja määrän odotetaan väestön ikääntyessä kaksinkertaistuvan joka 20. vuosi. Tällä hetkellä demencioita sairastavien hoito maksaa Euroopassa vuosittain noin 130 miljardia euroa. Ikään liittyvät hermoston rappeutumissairaudet ovatkin nykyään yksi suurimpia lääketieteellisiä ja yhteiskunnallisia haasteita. Euroopan unionin yhteisen ohjelmasuunnittelun ohjelmahanke hermoston rappeutumissairauksista (Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research, JPND) on innovatiivinen yhteistutkimusaloite, jolla pyritään ratkaisemaan hermoston rappeutumissairauksista johtuvia lisääntyviä haasteita. Tavoitteena on vahvistaa tutkimuksen vaikuttavuutta lisäämällä yhteistyötä käynnissä olevien kansallisten ohjelmien pohjalta sekä tunnistaa yhteisiä tavoitteita, jotka hyötyisivät yhteistoimista. Ohjelman tutkimusstrategia tarjoaa puitteet tuleville panostuksille sekä linjaa, miten eurooppalaista tutkimusta voitaisiin mahdollisimman tehokkaasti hyödyntää kyseisten sairauksien ehkäisemisessä, diagnosoinnissa ja paremman hoidon ja potilashuollon turvaamisessa.

## 2. Tutkimuksen painopisteet ja tukitoimet

### Tutkimuksen painopisteet

Vaikuttavuuden lisäämiseksi tarvitaan uusia ja monitieteellisiä lähestymistapoja ja nykyisten vahvuuksien edelleen vahvistamista alalla, kattaen perustutkimuksen, kliinisen, terveys- ja sosiaalihuollon tutkimuksen ja perus- ja kliinistä tutkimusta yhdistävän (translationaalisen) tutkimuksen. Tutkimusta tarvitaan muun muassa seuraavilla temaattisilla painopistealueilla:

- **Hermoston rappeutumissairauksien synty:** Tarvitaan lisää tietoa hermoston rappeutumissairauksia aiheuttavista syistä sekä tekijöistä, jotka altistavat sairastumiselle tai suojaavat siltä. Riskiryhmään kuuluvan väestön tunnistaminen auttaisi ehkäisevien strategioiden laatimisessa. Tätä varten tarvitaan tutkimusta, jonka avulla voidaan tunnistaa näihin sairauksiin liittyviä uusia geneettisiä, epigeneettisiä ja ympäristöriskitekijöitä sekä arvioida näiden tekijöiden vuorovaikutusta. Lisää tietoa tarvitaan myös normaalista ikääntymisprosessista ja siitä, miten se vaikuttaa hermoston rappeutumissairauksien kehittymiseen ja etenemiseen. Näiden prosessien ympäristö- ja käyttäytymiseen liittyvät tekijät antavat lisätietoa myös siitä, mikä altistaa näille sairauksille tai suojaa niiltä.
- **Tautimekanismit ja -mallit:** Sairauksien taustalla olevista mekanismeista on saatava lisää tietoa, jotta voidaan kehittää uusia diagnostisia ja hoitotoimenpiteitä ja löytää sairauden etenemisen kannalta tarkoituksenmukainen hoito. Tulisi kehittää uusia solu- ja eläinmalleja, jotka jäljittelevät mahdollisimman tarkasti tautiprosessiin vaikuttavia tekijöitä. On myös otettava huomioon useita muita vaikuttavia tekijöitä, kuten sairauden eteneminen, muut samanaikaiset sairaudet, sukupuoli ja ikääntyminen. Lisäksi tarvitaan tutkimusta näihin sairauksiin liittyvien käyttäytymis- ja psykologisten oireiden biologisista ja ympäristölähtökohdista.
- **Diagnosointi:** Normaaliin kliinisten tutkimusten avulla ei pystytä tehokkaasti arvioimaan ja ymmärtämään yleisimpien hermoston rappeutumissairauksien monimutkaisuutta. Nykyiset diagnostiset kriteerit vaativat siksi tarkennusta ja päivittämistä. Näiden sairauksien eri ilmenemismuodot (esimerkiksi taudin varhaisvaiheet, jolloin kliinisiä oireita ei vielä esiinny) vaativat tarkempaa määrittelyä. Tarvitaan uusia ja parempia diagnostisia menetelmiä näiden sairauksien entistä varhempaan ja tarkempaan tunnistamiseen. Tarvitaan myös uusia biomarkkereita, ja lisäksi olisi pyrittävä luomaan ihmis- ja eläintutkimuksen välisiä yhteyksiä sekä kehittämään toimenpiteitä taudin etenemisen hidastamiseksi ja ennusteen ja hoidon parantamiseksi. Menetelmien ja arvioinnin yhtenäistäminen on avainasemassa, kun halutaan parantaa tulosten vertailukelpoisuutta ja tukea eri toimijoiden välistä tutkimusyhteistyötä.

- **Hoito ja ennaltaehkäisy:** Uusien hoitokohteiden tunnistamista ja lääkkeiden kehittämistä tehostetaan lisäämällä eläin-, soluviljely- ja potilaskokeista saatujen tulosten keskinäistä vertailua. Voitaisiin myös kehittää menetelmiä, joilla kliinisissä kokeissa tutkittavat valitaan. Näin voitaisiin paremmin osoittaa uusien hoitokeinojen kliininen tehokkuus. Olisi myös kannustettava psykososiaalisia interventioita kehittäviä tutkimuksia ja kiinnitettävä huomiota osallisuuteen ja hoitohenkilöstön osallistumiseen. Niillä potilasryhmillä, joilla tauti on vasta prekliinisessä vaiheessa, olisi mahdollista testata erilaisia interventioita, joilla voitaisiin mahdollisesti estää tai hidastaa taudin eteneminen. Lisäksi tulisi kehittää pidemmän aikavälin toimintatapoja, joilla voidaan uudistaa strategioita ja kehittää uusia tapoja kohdentaa uusia lääkkeitä ja biologisia valmisteita juuri tiettyihin aivojen tai hermojärjestelmän osiin.
- **Sosiaali- ja terveydenhuolto:** Sosiaali- ja terveydenhuollon välinen koordinaatio on eräissä maissa heikkoa. Siksi tarvitaan arviointia dementiasairaiden tasa-arvoisesta pääsystä diagnoosiin, hoitoon, hoivaan ja tukeen sekä näiden tehokkuudesta ja kustannuksista. Olisi tunnistettava ne kriittiset tekijät, jotka vaikuttavat näistä sairauksista aiheutuvaan vajaakuntoisuuteen ja terveyteen liittyvään elämänlaatuun. Näitä ovat muun muassa samanaikaiset muut sairaudet, ravinto ja heikkokuntoisuus, sekä perheen, hoitajien, ympäristön ja sosiaali- ja terveydenhuollon välinen vuorovaikutus. On myös tärkeää kiinnittää huomiota siihen, että nykyinen tieto hoitostrategioista perustuu paljolti tiiviisiin ja lyhyen aikavälin tutkimuksiin, jotka eivät ole helposti sovellettavissa käytännön hoitotilanteisiin. Tarvitaan lisää tutkimusta, joka paremmin valottaisi potilaiden ja hoitohenkilökunnan näkökulmaa. Kotihoitoa helpottava teknologia voi auttaa huomamaan dementiapotilaiden ja heidän hoitajiensa tarpeita sekä taudin varhaisvaiheissa että taudin edetessä. Enemmän huomioita tulisi kuitenkin kiinnittää dementiasairauksista aiheutuvaan taakkaan kuin ikääntymiseen yleensä. Lisätutkimusta tarvitaan myös oireita lievittävästä ja loppuvaiheen hoidosta. Tämä tutkimus tulisi yhdessä alan muun tutkimuksen kanssa tarkoituksenmukaisesti integroida tutkimukseen, joka kohdistuu dementiasairauksiin liittyviin monimutkaisiin eettisiin kysymyksiin.

## Tukitoimet

Yllä kuvattujen tutkimusteemojen edistämiseksi tarvitaan useita laaja-alaisia toimia:

- **Tutkimuskapasiteetin tuntemus:** Hermoston rappeutumissairauksien tutkimusta on kartoitettu sekä kansallisella että Euroopan tasolla. Tavoitteena on tunnistaa tutkimustarpeita ja niitä mahdollisuuksia, joita voitaisiin saada aikaan paremmalla koordinoinnilla ja suuremmalla rahoituksella. Kartoitus luo perustan julkiselle tietokannalle, joka toisi esiin nykyistä eurooppalaista alan tutkimusta ja edistäisi voimavarojen ja infrastruktuurin tehokkaampaa käyttöä.
- **Tutkimusta tukevat infrastruktuurit ja puitteet:** Alan tutkimukselle sopivan tutkimusympäristön luomiseksi olisi yhdistettävä tutkimustietoa ja -aineistoja ja edistettävä niiden vapaata käyttöä. Olisi myös kehitettävä yhtenäisiä ohjeita, menetelmiä ja työvälineitä tietojen kokoamista ja analysointia varten, esimerkiksi kiinnittämällä huomiota modernin teknologian ja biopankkien vaatimuksiin ja hyödyntämällä paremmin eri väestöryhmiä. Olisi arvioitava eri kehysstrategioita, jotta tutkimus olisi mahdollista kaikilla terveydenhuollon rakenteiden tasolla (ml. paikallissairaalat, perusterveydenhuolto ja avohoito).
- **Yhteistyö teollisuuden kanssa:** Useat kaupalliset organisaatiot (mm. lääke-, diagnostiikka- ja bioteknologiasektori sekä palveluasumis-, terveydenhuolto- ja hoitokotipalvelujen tuottajat) ovat mukana hermoston rappeutumissairauksien tutkimuksessa. Akateemisen ja kaupallisen sektorin välinen yhteistyö on välttämätöntä kehitettäessä uusia lähestymistapoja paremman hoidon ja hoivan saamiseksi. Tietojen ja voimavarojen vaihtoa teollisuussektorin ja tutkimuksen välillä olisi myös kannustettava.
- **Yhteistyö toimintaa säätelevien organisaatioiden kanssa:** Sitoutuminen ja yhteistyö tärkeimpien eurooppalaisten ja kansallisten toimintaa säätelevien organisaatioiden kanssa on välttämätöntä, jotta tutkimustuloksia voidaan paremmin hyödyntää potilastyössä. Näin voidaan myös varmistaa, että tutkijat ymmärtävät säätelyn roolin, ja se osataan suhteuttaa tiedossa oleviin riskeihin. Tukea säätelyyn liittyvän tiedon

saavutettavuuden lisäämiseksi tulisi vahvistaa ja näin auttaa tutkimusten suunnittelussa sekä osoittaa mahdolliset pullonkaulat jo varhaisessa vaiheessa.


- **Yhteistyö Euroopan ulkopuolisten maiden kanssa:** Hermoston rappeutumissairauksien vaatima kliinisen hoidon tarve ja sairauksien yhteiskunnalliset vaikutukset ovat tunnetusti globaali ongelma. Alan tutkimusta voidaan linkittää maailmanlaajuisesti, mutta yhteistyön tulisi olla strategisesti suunnattua ja sen tulisi tuottaa selvää lisäarvoa yhteisen ohjelmasuunnittelun ohjelmahankkeen tavoitteisiin.
- **Tutkimusvalmiuksien vahvistaminen:** Tietyiltä tutkimusaloilta puuttuu riittäviä valmiuksia ja näitä aloja on vahvistettava. Tämän edistämiseksi olisi perustettava verkostoja eri tieteenalojen välille ja tutkijoiden (erityisesti kliinisten tutkijoiden ja translationaalisen tutkimuksen asiantuntijoiden) kesken. Samoin tarvitaan lisää hermoston rappeutumissairauksien tutkijoita, joilla on asiantuntemusta terveystaloustieteen, tilastotieteen, laskennallisen biologian ja bioinformatiikan alalta. Sosiaali- ja terveydenhuollon laadun parantamiseksi olisi luotava ympäri Eurooppaa keskuksia, jotka menetelmällisesti tukisivat tutkimuksen kehittämistä ja hoidon, palveluiden ja hoitoketjujen arviointia.
- **Koulutuksen tehostaminen:** Sosiaali- ja terveydenhuollon ammattilaisten antaman neuvonnan hermoston rappeutumissairauksista kärsiville tulisi kattavasti perustua sairauksien ymmärtämiseen ja sairauksille ominaisten tarpeiden ja saatavilla olevien hoitovaihtoehtojen tuntemiseen. Tätä varten olisi kehitettävä sekä kliinisiä että tutkimukseen liittyviä koulutusohjelmia ja pyrittävä sisällyttää tutkimuskulttuuri koko sosiaali- ja terveydenhuollon kenttään. Lisäksi tarvitaan lisää kansanterveyttä edistävää tiedottamista, jotta voitaisiin vähentää epäterveellisestä elämäntavasta johtuvia taudin riskitekijöitä. Terveyttä edistävää tiedottamista varten tarvitaan tutkimustietoa siitä, miten parhaiten vaikutetaan elämäntapamuutoksiin koko väestössä.
- **Yhteistyö päättäjien kanssa:** Yhteisen ohjelmahankkeen tavoitteena on tarjota puitteet, joilla tuoda esiin tärkeitä kysymyksiä kansallisiin strategioihin ja päätöksentekoon ja näin edistää yhtenäisiä toimintamalleja eri maissa. Sairauksia koskevissa toimintaperiaatteissa on kaksi kohtaa, joihin tulisi kiinnittää erityistä huomiota: uusien teknologioiden tai käytäntöjen käyttöönotto, esimerkiksi telelääketieteen, palveluasumisen ja palvelujen tuottamisen alalla. Toiseksi olisi varmistettava, että tutkimustuloksia hyödynnetään tehokkaasti kansanterveyspolitiikassa.
- **Viestinnän tehostaminen:** Tutkimuksen toimintasuunnitelmaan on saatava osallistumaan laaja joukko eri sektoreita, jotta sitä voidaan mahdollisimman tehokkaasti hyödyntää päätöksenteossa ja käytännössä. On varmistettava, että kaikki sidosryhmät ovat tietoisia käynnissä olevasta alan tutkimuksesta ja sen tuloksista, ja levittävät tietoa tutkimuksesta ja sen tukemisesta päättäjien, potilaiden, potilas- ja hoitohenkilökuntajärjestöjen ja suuren yleisön keskuudessa. Tämä kannustaisi myös tutkimukseen osallistumista ja auttaisi vähentämään dementiasairauksiin liittyvää häpeää.

### 3. Tutkimusstrategian toimeenpano

Tutkimusstrategia tarjoaa erilaisia mahdollisuuksia yhteiseen ohjelmahankkeeseen osallistuville ja yhteistyöstä kiinnostuneille maille. Yhteistyö toteutetaan yhteisesti kansallisia voimavaroja joko uudelleen järjestämällä tai niitä yhdistämällä vaikuttavuuden lisäämiseksi ja uuden rahoituksen hankkimiseksi. Lähtökohtana on, että tuettavan tutkimuksen on oltava tieteellisesti korkeatasoista.

### 4. Yhteenveto

Ohjelmahanke on erinomainen esimerkki yhteisestä ohjelmasuunnittelusta. Se on uusi ja joustava toimintatapa, jolla voidaan vastata sellaiseen suureen yhteiskunnalliseen haasteeseen, jota ei pystytä ratkaisemaan pelkästään kansallisten ohjelmien avulla. Tässä strategiassa esitellään 24 siihen osallistuvan Euroopan maan yhteinen näkemys. Se tarjoaa strategisen lähestymistavan, jolla tukea uusia mahdollisuuksia hyödyntävää huippututkimusta, raivata kehityksen tiellä olevia esteitä ja tarjota uusia menetelmiä taudinehkäisyyn, hoitoon ja hoivaan. Tutkimusstrategian suositukset koskevat laajasti tutkimusta ja toimenpiteitä, joita tarvitaan vaikuttavuuden lisäämiseksi. Ne tunnistavat



myös muiden sidosryhmien tärkeän roolin tämän suunnitelman toimeenpanossa. Ensijaisena tavoitteena on tutkimus, jonka tuloksia voitaisiin hyödyntää uusina hoitoina, jotka parantaisivat hermoston rappeutumissairauksista kärsivien potilaiden ja heidän omaistensa elämää ja hyvinvointia ja toisivat taloudellista ja yhteiskunnallista hyötyä koko Euroopan unionille.

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

