

# JPND Research Strategy

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

Περίληψη



**JPND**  
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

## 1. Ιστορικό και σκοπός της ερευνητικής στρατηγικής

Οι Νευροεκφυλιστικές Νόσοι (ND) είναι σε μεγάλο βαθμό ανίατες καταστάσεις που εξασθενούν τον ασθενή και συνδέονται στενά με την ηλικία. Μεταξύ αυτών των διαταραχών, η άνοια διαφόρων τύπων είναι υπεύθυνη για τη μεγαλύτερη επιβάρυνση που προκαλείται από τη νόσο, με την νόσο του Alzheimer και των συναφών διαταραχών να επηρεάζουν έως και 7 εκατομμύρια άτομα στην Ευρώπη, σημειώνεται δε ότι αυτός ο αριθμός αναμένεται να διπλασιάζεται κάθε 20 χρόνια καθώς ο πληθυσμός γερνάει. Επί του παρόντος, το κόστος είναι της τάξης των € 130 δισεκατομμυρίων ετησίως για την περίθαλψη των ατόμων με άνοια σε όλη την Ευρώπη, αναδεικνύοντας τις συνδεδεμένες με την ηλικία νευροεκφυλιστικές νόσους, ως μία από τις κορυφαίες ιατρικές και κοινωνικές προκλήσεις που αντιμετωπίζει η κοινωνία μας.

Το πρόγραμμα Κοινού Προγραμματισμού της ΕΕ – Έρευνα για τις Νευροεκφυλιστικές Νόσους (EU Joint Programme - Neurodegenerative Disease Research /JPND) είναι μια καινοτόμος, συνεργατική ερευνητική πρωτοβουλία για την αντιμετώπιση των αυξανόμενων προκλήσεων που προκύπτουν από τις Νευροεκφυλιστικές Νόσους (Neurodegenerative Diseases:ND). Στόχος της πρωτοβουλίας είναι να ενισχύσει τις θετικές επιπτώσεις της έρευνας, μέσω του συντονισμού των εθνικών προγραμμάτων έρευνας και κτίζοντας πάνω σε αυτά, και μέσω του προσδιορισμού στόχων που θα μπορούσαν να ενισχυθούν από την κοινή δράση. Η παρούσα Ερευνητική Στρατηγική παρέχει ένα πλαίσιο για τις μελλοντικές επενδύσεις και καταδεικνύει τον τρόπο με τον οποίο η ευρωπαϊκή ερευνητική προσπάθεια μπορεί να αξιοποιηθεί πιο αποτελεσματικά με στόχο τη βελτίωση της πρόληψης, της διάγνωσης, της θεραπείας και της περίθαλψης των ασθενών που πάσχουν από αυτές τις εξόχως καταπονητικές καταστάσεις.

## 2. Επιστημονικές προτεραιότητες και υποστηρικτικές-ενισχυτικές δράσεις

### Επιστημονικές προτεραιότητες

Για την επίτευξη θετικών αποτελεσμάτων υπάρχει ανάγκη υποστήριξης καινοτόμων και δι-επιστημονικών προσεγγίσεων και ενίσχυσης και επέκτασης των υφιστάμενων δυνατοτήτων σε όλο το φάσμα της βασικής έρευνας, της κλινικής έρευνας, της υγείας της κοινωνικής περιθαλψης και της μεταφραστικής έρευνας. Έχουν ήδη προσδιορισθεί μια σειρά θεματικών προτεραιοτήτων για την μελλοντική έρευνα:

- **Η προέλευση των νευροεκφυλιστικών νόσων (ND):** υπάρχει ανάγκη για επιπρόσθετη γνώση σχετικά με την αιτιολογία κάθε ειδικής ND, για τους παράγοντες που καθορίζουν τον κίνδυνο και την ανθεκτικότητα στη νόσο των ατόμων, καθώς και των παραγόντων που ενεργοποιούν τα γεγονότα που οδηγούν στην ασθένεια. Ο χαρακτηρισμός πληθυσμών «σε κίνδυνο» τελικά θα πρέπει να οδηγεί σε στρατηγικές πρόληψης και αυτό απαιτεί έρευνα για την ανακάλυψη νέων γενετικών, επιγενετικών και περιβαλλοντικών παραγόντων κινδύνου εμφάνισης των ND και επίσης θα πρέπει να οδηγεί στην αξιολόγηση της αλληλεπίδρασης αυτών των παραγόντων. Παράλληλα, υπάρχει ανάγκη καλύτερης κατανόησης της φυσιολογικής διαδικασίας της γήρανσης και πώς αυτή συσχετίζεται με την ανάπτυξη και την εξέλιξη ND. Ο προσδιορισμός των περιβαλλοντικών ρυθμιστών και των ρυθμιστών της συμπεριφοράς κατά την διάρκεια αυτών των διεργασιών θα παράσχει κατανόηση των παραγόντων που καθορίζουν την προστασία και την ανθεκτικότητα έναντι της νόσου.
- **Μηχανισμοί της νόσου και πειραματικά μοντέλα:** μια πληρέστερη κατανόηση των μηχανισμών της υποκείμενης νόσου είναι απαραίτητη για την ενίσχυση της ανάπτυξης νέων διαγνωστικών και θεραπευτικών προσεγγίσεων, καθώς επίσης για τον προσδιορισμό των κατάλληλων χρονικών παραθύρων παρέμβασης. Μεταξύ των πολλαπλών προσεγγίσεων που επιδιώκονται, υπάρχει ανάγκη καθιέρωσης καινοτόμων προσεγγίσεων, σε κυτταρική βάση και σε βάση ζωικών μοντέλων που αντιπροσωπεύουν με ακρίβεια βασικά στοιχεία της διαδικασίας της νόσου, και λαμβάνουν υπόψη παράγοντες όπως την εξελισσόμενη φύση της ND, τα συνοδά νοσήματα, το φύλο και τη γήρανση. Απαιτείται επίσης προσπάθεια για την αποσαφήνιση της βιολογικής και περιβαλλοντικής βάσης των συμπτωμάτων συμπεριφοράς και των ψυχολογικών συμπτωμάτων κατά την ND.

- **Ορισμοί της νόσου και διάγνωση:** Οι πρότυπες κλινικές αξιολογήσεις αποτυγχάνουν να συλλάβουν την θεωρούμενη πολυπλοκότητα των κοινών-ND, και απαιτείται εξειδίκευση και επικαιροποίηση των τρεχόντων διαγνωστικών κριτηρίων. Οι διάφορες μορφές και υπότυποι των ND, συμπεριλαμβανομένων των σταδίων πριν την εμφάνιση κλινικών συμπτωμάτων, απαιτούν καλύτερο ορισμό ενώ νέα ή βελτιωμένα διαγνωστικά εργαλεία για την πιο έγκαιρη και πιο ακριβή ανίχνευση της ND. Νέοι βιολογικοί δείκτες είναι απαραίτητοι για να χρησιμοποιηθούν στην προσπάθεια συσχέτισμού των μελετών που βασίζονται σε πειραμάτωση με τον άνθρωπο., καθώς επίσης για την παροχή δεικτών της εξέλιξης της νόσου, της πρόγνωσης και των αποτελεσμάτων της θεραπείας. Η εναρμόνιση και η τυποποίηση των εν λόγω εργαλείων και οι αξιολογήσεις είναι κριτικής σημασίας για την εξασφάλιση της συγκρισιμότητας των αποτελεσμάτων και την υποστήριξη των δια-κεντρικών μελετών.
- **Θεραπεία και πρόληψη:** Η πρόοδος στον προσδιορισμό νέων στόχων και η ανάπτυξη φαρμάκων έναντι αυτών, θα ενισχυθεί από την προώθηση της αμφίδρομης σύνδεσης μεταξύ μελετών σε ζωικά και κυτταρικά μοντέλα και των ασθενών, ενώ οι διαδικασίες για την βελτίωση της επιλογής (ή στρωματοποίησης) των ατόμων που συμπεριλαμβάνονται σε κλινικές δοκιμές μπορεί επίσης να παρέχουν μεγάλη ευκαιρία για να φανεί η κλινική αποτελεσματικότητα ενδεχόμενων νέων θεραπειών. Θα πρέπει να ενισχυθούν επίσης μελέτες περαιτέρω ανάπτυξης των ψυχολογικών παρεμβάσεων, με εστίαση στην προώθηση της κοινωνικής ένταξης του ασθενούς και της ενεργού συμμετοχής στη διαδικασία του ατόμου που έχει την φροντίδα του ασθενούς, ενώ η συμμετοχή στις μελέτες ομάδων ασθενών με προκλινική ND θα αποτελεί πλατφόρμα για τη μελλοντική δοκιμή των παρεμβάσεων είτε για την πρόληψη είτε για την επιβράδυνση της εξέλιξης της νόσου. Τέλος, επιδιώκονται μακροπρόθεσμες προσεγγίσεις για την προώθηση στρατηγικών αναγεννητικής ιατρικής, οι οποίες αναπτύσσουν καινοτόμα συστήματα για την παραγωγή και τη στοχοθέτηση φαρμάκων και βιολογικών ουσιών έναντι ειδικών θέσεων του εγκεφάλου και του νευρικού συστήματος.
- **Υγειονομική περίθαλψη και κοινωνική φροντίδα:** Επί του παρόντος ο συντονισμός μεταξύ των συστημάτων δημόσιας υγείας και κοινωνικής περίθαλψης είναι ανεπαρκής σε κάθε κράτος χωριστά και απαιτείται αξιολόγηση της ίσης δυνατότητας πρόσβασης στα συστήματα αυτά, της αποτελεσματικότητας και της σχέσης αποτελεσματικότητας έναντι του κόστους των μεθόδων διάγνωσης, θεραπείας, φροντίδας και υποστήριξης για τις ND σε όλη την Ευρώπη. Υπάρχει επίσης ανάγκη, να προσδιορισθούν οι κρίσιμοι παράγοντες που επηρεάζουν την ποιότητα ζωής (QoL) σε καταστάσεις ND εξαιτίας ενδεχόμενης αναπηρίας και της συνολικής κατάστασης υγείας, συμπεριλαμβανομένων των επιπτώσεων της συννοσηρότητας, της διατροφής της αδυναμίας, της αλληλεπίδρασης με την οικογένεια, τους φροντιστές, το περιβάλλον και των συστημάτων δημόσιας υγείας και κοινωνικής περίθαλψης. Επίσης, είναι απαραίτητο να αντιμετωπισθεί το γεγονός ότι η τρέχουσα βάση δεδομένων για τις θεραπευτικές στρατηγικές σε μεγάλο βαθμό έχει προκύψει από εντατικές και μικρής διάρκειας μελέτες οι οποίες δεν μεταφράζουν εύκολα την κατάσταση που υπάρχει στον «πραγματικό κόσμο», ενώ βελτιωμένα μέτρα έκβασης είναι απαραίτητα τα οποία θα αντανάκλουν την προοπτική τόσο του ασθενούς όσο και του φροντιστή. Τεχνολογίες υποβοηθούμενης διαβίωσης μπορεί να βοηθήσουν στην αντιμετώπιση των αναγκών των ασθενών με ND και των φροντιστών τους, τόσο στις αρχικές καταστάσεις της νόσου όσο και στην κατάσταση ήπιας νόσου, παρότι μεγαλύτερη έμφαση θα πρέπει να δίνεται στην αντιμετώπιση του ειδικού βάρους των ND σε αντίθεση με την εστίαση γενικά στην γήρανση. Περαιτέρω έρευνα θα πρέπει να γίνει για την παρηγορητική περίθαλψη και για την περίθαλψη στο τέλος της ζωής, η οποία μαζί με άλλους τομείς της έρευνας για τις ND, θα πρέπει να ενσωματώνουν κατάλληλα την έρευνα για τα περίπλοκα προβλήματα ηθικής που σχετίζονται στις ND.

## Υποστηρικτικές/ενισχυτές δράσεις

Ένας αριθμός οριζόντιων δράσεων είναι απαραίτητες για την πρόοδο των επιστημονικών θεμάτων που περιγράφονται προηγουμένως, όπως:

- **Γνώση της ερευνητικής δυναμικής:** Έγινε χαρτογράφηση σε εθνικό και σε ευρωπαϊκό επίπεδο της ερευνητικής δραστηριότητας στον τομέα των ND προκειμένου να προσδιορισθούν τα ερευνητικά κενά που είναι δυνατόν να αντιμετωπισθούν μέσω της βελτίωσης του συντονισμού των εθνικών ερευνητικών προγραμμάτων και της αύξησης των επενδύσεων στον τομέα αυτό καθώς και οι πιθανές ευκαιρίες που ενδέχεται να προκύψουν. Με τον τρόπο αυτό δημιουργείται το πλαίσιο για μια δημόσια βάση δεδομένων που θα παρουσιάζει την εν εξελίξει έρευνα σε ND σε όλη την Ευρώπη και θα προωθεί τη καλύτερη χρήση των πόρων και των υποδομών.
- **Υποστηρικτική υποδομή και πλατφόρμες:** Κατά την αναζήτηση δημιουργίας ευνοϊκού περιβάλλοντος για την έρευνα σε ND, απαιτείται ενίσχυση της ένταξης και εναρμόνισης δεδομένων και υλικών, καθώς και η προώθηση μιας προσέγγισης ανοικτής πρόσβασης στη χρήση τους. Τυποποιημένες κατευθυντήριες γραμμές, μέθοδοι και εργαλεία για τη συλλογή και ανάλυση δεδομένων θα πρέπει να προωθηθούν, για παράδειγμα για την αντιμετώπιση των απαιτήσεων πλατφορμών υψηλής απόδοσης τεχνολογίας και των βιοτραπεζών, καθώς και για την καλύτερη εκμετάλλευση των στοιχείων που προέρχονται από μελέτες σε ομάδες πληθυσμού. Το πολιτικό πλαίσιο θα πρέπει να αναθεωρηθεί προκειμένου να διευκολύνει την έρευνα στο πλήρες φάσμα των δομών υγείας, συμπεριλαμβανομένων των γενικών νοσοκομείων, της πρωτοβάθμιας και της κοινοτικής περίθαλψης.
- **Συνεργασία με τη βιομηχανία:** Πολλοί διαφορετικοί εμπορικοί οργανισμοί ασχολούνται με την έρευνα σε ND, σε αυτούς περιλαμβάνονται οι φαρμακευτικές εταιρείες, οι τομείς των διαγνωστικών και της βιοτεχνολογίας για την υποβοηθούμενη διαβίωση και οι πάροχοι υγειονομικής περίθαλψης, συμπεριλαμβανομένης της βιομηχανίας για την κατ' οίκον φροντίδα. Η σύνδεση μεταξύ του ακαδημαϊκού και του εμπορικού τομέα είναι απαραίτητη για την παραγωγή νέων προσεγγίσεων για την θεραπεία και την περίθαλψη. Η ανταλλαγή δεδομένων και πόρων μεταξύ της βιομηχανίας και του ακαδημαϊκού τομέα θα πρέπει να ενθαρρύνεται.
- **Η εργασία με τις ρυθμιστικές αρχές:** Η προώθηση της αποτελεσματικής μετάφρασης της έρευνας σε όφελος των ασθενών απαιτεί δέσμευση και συνεργασία με των βασικών και εθνικών ρυθμιστικών αρχών προκειμένου να εξασφαλισθεί ότι οι κανονισμοί γίνονται εύκολα κατανοητοί από τους ερευνητές και είναι ανάλογοι με τον κίνδυνο. Δίκτυα υποστήριξης των κανονισμών θα πρέπει να ενισχύονται για την παροχή πρόσβασης σε οδηγίες που πρέπει να καθορίζουν τον σχεδιασμό των μελετών, και για την αντιμετώπιση προβλημάτων κατά το πρώιμο στάδιο αυτών.
- **Διεθνής συνεργασία πέρα από την Ευρώπη:** Είναι πλέον αποδεκτό ότι οι κλινικές ανάγκες δεν έχουν ακόμη καλυφθεί σε παγκόσμιο επίπεδο και οι κοινωνικές επιπτώσεις των ND αποτελούν ένα παγκόσμιο ζήτημα, καθώς επίσης ότι μπορεί να προκύψουν ευκαιρίες μέσω της σύνδεσης της ερευνητικής προσπάθειας που γίνεται στον τομέα αυτό, σε παγκόσμιο επίπεδο. Για τέτοιου τύπου διεθνή συνεργασία θα πρέπει να υπάρχει στρατηγική κατεύθυνση και να παρέχει σαφή προστιθέμενη αξία στους στόχους του JPND.
- **Δόμηση δεξιοτήτων:** Ορισμένες περιοχές έρευνας υστερούν σε δεξιότητες και πρέπει να ενισχυθούν. Κατά συνέπεια, θα πρέπει να δημιουργηθούν δίκτυα ερευνητών, τόσο δια-θεματικά όσο και μέσα στον ίδιο επιστημονικό τομέα, ενώ ιδιαίτερη προσπάθεια πρέπει να καταβληθεί για την προώθηση των κλινικών ερευνητών, των ειδικών επιστημόνων στην μεταφραστική έρευνα, και για την αύξηση του αριθμού των ερευνητών στον τομέα των ND με εξειδίκευση στα οικονομικά της υγείας, στατιστικής, Υπολογιστικής Βιολογίας και Βιοπληροφορικής. Προκειμένου να εξασφαλισθεί ότι εγκαθιδρύεται η αριστεία στους τομείς της υγειονομικής περίθαλψης και στον κοινωνικό τομέα φροντίδας σε ευρεία βάση σε ολόκληρη την Ευρώπη, κόμβοι μεθοδολογίας πρέπει να δημιουργηθούν για την υποστήριξη της ανάπτυξης μελετών, για την αξιολόγηση των παρεμβάσεων και των υπηρεσιών και περίθαλψης.
- **Εκπαίδευση και κατάρτιση:** Οι συμβουλές που παρέχονται σε ασθενείς με ND από όλο το φάσμα των διαφορετικών επαγγελματιών υγείας και κοινωνικής περίθαλψης βασίζονται στη καλή κατανόηση της διαταραχής, στις χαρακτηριστικές ανάγκες του ασθενούς στις καταστάσεις αυτές, και στις διαθέσιμες τεκμηριωμένες επιλογές

για τη θεραπεία. Η κλινική και η ερευνητική εκπαίδευση και η κατάρτιση προγραμμάτων εκπαίδευσης, πρέπει να διαμορφώνονται έτσι ώστε να λειτουργούν ενισχυτικά και να ενισχύουν την ενσωμάτωση της ερευνητικής παιδείας σε όλο το φάσμα της υγειονομικής και κοινωνικής περίθαλψης. Παράλληλα, υπάρχει ανάγκη προώθησης του μηνύματος δημόσιας υγείας για τον πλήρη περιορισμό των παραγόντων κινδύνου εμφάνισης ND οι οποίοι συνδέονται με ανθυγιεινό τρόπο ζωής. Δημόσια μηνύματα για την υγεία πρέπει να υποστηρίζονται από έρευνα σχετικά με τον καλύτερο τρόπο για να υπάρξει η μεγαλύτερη επίδραση στην αλλαγή συμπεριφοράς σε επίπεδο γενικού πληθυσμού.

- **Σύνδεση με τους φορείς χάραξης πολιτικής:** Το JPND παρέχει ένα πλαίσιο μέσα από το οποίο ενισχύονται σημαντικά ζητήματα για τον σχεδιασμό εθνικής πολιτικής, η οποία στην συνέχεια θα ενισχύσει την συμβατότητα μεταξύ των πολιτικών προσεγγίσεων των διαφόρων κρατών. Θα πρέπει να αντιμετωπισθούν δύο μεταφραστικά κενά στην πολιτική για τις ND, αφενός, στην εφαρμογή των νέων τεχνολογιών και πρακτικών, π.χ., στην περιοχή της τηλε-ιατρικής, στην υποβοήθηση της διαβίωσης ή στην παροχή υπηρεσιών και, αφετέρου για την εξασφάλιση της αποτελεσματική ενσωμάτωσης των ερευνητικών αποτελεσμάτων στην πολιτική της δημόσιας υγείας.
- **Επικοινωνία και ευαισθητοποίηση:** για την αποτελεσματική μετάφραση της ερευνητικής ατζέντας σε πολιτική και πρακτική, η ερευνητική ατζέντα θα πρέπει να συνδέεται και να περιλαμβάνει, ένα ευρύ φάσμα τομέων. Το JPND εξασφαλίζει ότι όλοι οι ενδιαφερόμενοι ενημερώνονται σωστά για τις τρέχουσες δραστηριότητες της έρευνας για τις ND και για τα αποτελέσματα της έρευνας αυτής, αυξάνοντας με αυτόν τον τρόπο την ευαισθητοποίηση και τη στήριξη της έρευνας στο τομέα των ND μεταξύ των φορέων λήψης αποφάσεων, των οργανώσεων των ασθενών, των φροντιστών και του ευρέως κοινού, γεγονός που θα μπορούσε επίσης να ενισχύσει την συμμετοχή της έρευνας στην εξάλειψη του στίγματος που συνδέεται με τις ND.

### 3. **Επιδιωκόμενο αποτέλεσμα της Ερευνητικής Στρατηγικής**

Η ερευνητική στρατηγική παρέχει ένα πλαίσιο ευκαιριών για τις χώρες που συμμετέχουν στο JPND και οι οποίες επιθυμούν να συμμετάσχουν σε κοινές δράσεις, που θα υλοποιηθούν μέσω συνεργατικών δράσεων που ευθυγραμμίζουν ή συνδέουν εθνικές επενδύσεις για την επίτευξη περισσότερων αποτελεσμάτων και νέων εργαλείων χρηματοδότησης. Μια κατευθυντήρια αρχή για την υλοποίηση αυτής τη ατζέντας είναι ότι η έρευνα που θα υποστηριχθεί θα είναι υψίστης επιστημονικής ποιότητας.

### 4. **Περίληψη**

Το JPND είναι ένα πρωτοποριακό παράδειγμα, «κοινού προγραμματισμού», μια νέα και ευέλικτη προσέγγιση που έχει την ικανότητα να αντιμετωπίζει μια μείζονα κοινωνική πρόκληση η οποία δεν μπορεί να επιλυθεί μόνο μέσω των εθνικών προγραμμάτων. Το παρόν κείμενο παρουσιάζει το κοινό όραμα των 24 ευρωπαϊκών κρατών που συμμετέχουν στο πρόγραμμα, και παρέχει μια στρατηγική προσέγγιση για την υποστήριξη της παγκόσμιας βεληκεούς έρευνας η οποία μπορεί να εκμεταλλευτεί τις αναδυόμενες επιστημονικές δυνατότητες, να αντιμετωπίσει τα εμπόδια στην πρόοδο και να παρέχει νέες προσεγγίσεις για την πρόληψη, την επέμβαση και την περίθαλψη. Οι οδηγίες που παρουσιάζονται στην Ερευνητική Στρατηγική αντιμετωπίζουν όλο το φάσμα της έρευνας και των προσεγγίσεων που απαιτούνται για την επίτευξη αποτελεσμάτων και αναγνωρίζουν το σημαντικό ρόλο των άλλων ομάδων των ενδιαφερόμενων στην επίτευξη αυτού του προγράμματος. Ο απώτερος στόχος είναι η διενέργεια έρευνας που μπορεί να μεταφραστεί σε νέες παρεμβάσεις οι οποίες θα βελτιώσουν την υγεία και το ευ ζην των ασθενών με ND, αλλά και των οικογενειών τους και των φροντιστών τους και η οποία έρευνα παράγει οικονομικό και κοινωνικό όφελος σε όλη την Ευρωπαϊκή Ένωση.