

JPND Research Strategy

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

Strategisk forskningsplan Sammendrag



JPND
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

JPND – felles europeisk forskningsprogram på neurodegenerative sykdommer

1. Bakgrunn og formål med forskningsstrategien

Nevrodegenerative sykdommer (ND) er sterkt knyttet til alder og i dag kan de færreste av disse sykdommene behandles. Demenssykdommene utgjør den største sykdomsbyrden. Alzheimers sykdom og relaterte lidelser rammer ca 7 millioner mennesker i Europa, og dette tallet er forventet å dobles hvert 20. år. Omsorg for Europas demenspasienter koster i dag i størrelsesorden 130 milliarder Euro per år. De aldersrelaterte neurodegenerative sykdommene er derfor en av de største medisinske og samfunnsmessige utfordringene vi står overfor.

EU Joint Programme - Neurodegenerative Disease Research (JPND) er et initiativ for å støtte innovative forskningssamarbeid som har som formål å møte utfordringene. Hensikten er å forsterke virkningen av forskningen ved å tilpasse og utvikle eksisterende nasjonale forskningsprogrammer og identifisere felles mål som vil ha nytte av felles handling. Denne forskningsstrategien gir et rammeverk for fremtidige investeringer og omhandler hvordan den europeiske forskningsinnsatsen mest effektivt kan brukes for å forbedre forebygging, diagnostikk, behandling og omsorg for ND-pasienter.

2. Faglige prioriteringer og mulige virkemidler

Faglige prioriteringer

For å oppnå stor effekt er det behov for nye og tverrfaglige tilnærminger, og å styrke og utvide eksisterende muligheter innenfor basal, klinisk og translasjonell forskning, samt innenfor omsorgsforskning. En rekke tematiske prioriteringer for framtidig forskning er identifisert:

- **Opprinnelsen til neurodegenerative sykdommer (ND):** Det er behov for mer kunnskap om årsakene til sykdommene, hvilke faktorer som bestemmer risiko for og beskyttelse mot sykdom, samt sykdomsutløsende faktorer. Karakterisering av individer som er spesielt disponert for ND vil på sikt legge grunnlaget for forebyggende strategier. Forskning for å avdekke genetiske, epigenetiske og miljømessige risikofaktorer for ND, samt samspillet mellom disse, er nødvendig. Parallelt med dette er det behov for å forstå den normale aldringsprosessen bedre og å kople denne til utvikling og progresjon av ND. Å identifisere miljø- og atferdsmessige endringsfaktorer ved disse prosessene vil også gi innsikt i de faktorene som bestemmer beskyttelse og motstand mot sykdom.
- **Sykdomsmekanismer og modeller:** En mer fullstendig forståelse av underliggende sykdomsmekanismer er nødvendig for å understøtte utviklingen av nye diagnostiske og terapeutiske tilnærminger, samt å identifisere riktige tidsvinduer for intervensjon. Blant mange mulige tilnærminger, er det behov for å etablere nye cellebaserte modeller og dyremodeller som nøyaktig gjenspeiler sentrale elementer i sykdomsprosessen og som tar hensyn til faktorer så som kjønn, aldring, at neurodegenerative sykdommer (ND) er progressiv av natur, og at den primære sykdommen kan påvirkes av andre sykdommer. Studier for å belyse de underliggende biologiske og miljømessige faktorene i de atferdsmessige og psykologiske symptomer i ND vil også være vesentlige.
- **Sykdomsdefinisjoner og diagnose:** Dagens standard kliniske vurderinger fanger ikke opp kompleksiteten i vanlige neurodegenerative sykdommer (ND). Forbedring og oppdatering av gjeldende diagnostiske kriterier er derfor nødvendig. De ulike formene for og undergruppene av ND, inkludert stadiene før kliniske symptomer oppstår (forstadier av sykdommene), må defineres bedre, mens nye eller forbedrede diagnostiske verktøy er nødvendig for tidligere og mer nøyaktig påvisning av ND. Nye biomarkører er essensielt i dette arbeidet. Man må finne bindeledd mellom humane studier og dyrestudier, og gode mål for sykdomsutvikling, prognose og behandlingseffekter. Standardisering og harmonisering av metoder og vurderinger vil være avgjørende for å sikre sammenlignbare resultater og kunne støtte multisenterstudier.

- **Behandling og forebygging:** Muligheter for å identifisere nye mål for medikamentelle behandling av nevrodegenerative sykdommer vil bli styrket ved at man arbeider for å kunne trekke linjer mellom dyre- og cellemodeller og pasientstudier, mens prosedyrer for å forbedre utvalget (rekrutteringen) av pasienter til kliniske studier også kan gi større sjanse for å kunne påvise klinisk effekt av nye behandlinger. Det bør også settes i gang studier for å utvikle psykososiale intervensjoner, fremme sosial inkludering og involvere omsorgspersoner og pleiepersonell. Etablering av pasientkohorter med preklinisk nevrodegenerativ sykdom kan gi en plattform for intervensjoner for å forebygge eller bremse sykdomsutvikling. Langsiktige tilnærminger som fremmer regenerative strategier og nye muligheter for opptak og målretting av medikamenter og andre biologiske substanser til bestemte områder i hjernen og nervesystemet, bør settes opp.
- **Helsetjenester og sosial omsorg:** I dag er i mange land liten samordning mellom nivåene i helse-, omsorgs- og sosialtjenesten. Dette nødvendiggjør en vurdering av tilgang til, samt effektivitet og kostnadseffektivitet av, tjenester/systemer for diagnostikk, behandling, pleie og støtte ved nevrodegenerative sykdommer (ND). Det er behov for å identifisere de kritiske faktorene som påvirker uførhet og livskvalitet ved ND, inkludert virkning av andre sykdommer (komorbiditet), kosthold og ernæring, samt samspillet med pårørende, pleiere, miljøet og helse- og sosialtjenesten. Det er også nødvendig å ta hensyn til det faktum at dagens kunnskap om behandlingsstrategier i stor grad stammer fra intensive og kortvarige studier som ikke lett kan overføres til "den virkelige verden". Utfallsmål som bedre reflekterer pasientenes og pleiernes perspektiver er nødvendig. Tekniske hjelpemidler (velferdsteknologi) kan avhjelpe behovene til pasienter og pleiere/helsepersonell i både tidlige og moderate sykdomstilstander. Men det må legges større vekt på de spesifikke behovene som nevrodegenerative sykdommer medfører. Videre forskning bør også rettes inn mot palliativ behandling og pleie i sluttfasen av livet. Forskningen må også inkludere de vanskelige etiske spørsmålene som er knyttet til nevrodegenerative sykdommer på en hensiktsmessig måte.

Mulige virkemidler

En rekke tverrgående aktiviteter vil være nødvendig for å oppnå framskritt innenfor forskningstemaene skissert ovenfor:

- **Pågående forskning og kapasitet:** Nasjonal forskningsaktivitet og Europeisk koordinert forskningsaktivitet er kartlagt for å identifisere både forskningshullene og de mulighetene som kan utløses gjennom bedre samordning og investeringer. Dette danner grunnlaget for en offentlig tilgjengelig database som både vil presentere pågående ND-forskning på tvers av Europa og forhåpentligvis fremme bedre bruk av ressurser og infrastruktur.
- **Infrastruktur og plattformer:** I arbeidet med å skape et utviklende miljø for ND-forskning er det behov for å forbedre integrering og harmonisering av data og materialer, samt å arbeide for at de blir fritt tilgjengelige. Standardiserte retningslinjer, metoder og verktøy for datainnsamling og analyse bør fremmes, for eksempel for å imøtekomme kravene fra high-throughput teknologiplattformen og biobanker og for å bedre utnytte befolkningskohorter. Policyer bør utformes for å fremme forskning på tvers av hele spekteret av helsetjenester, inkludert spesialisthelsetjenesten og primær- og kommunehelsetjenesten.
- **Samarbeid med industrien:** Mange ulike kommersielle organisasjoner samarbeider med ND-forskere, alt fra farmasøytiske, diagnostiske og bioteknologiske bedrifter til tilbydere av omsorgsboliger og helsepersonell, herunder hjemmesykepleie. Forbindelse mellom og på tvers av akademiske miljøer og kommersielle organisasjoner er viktig for nyutvikling innenfor behandling og omsorg. Utnyttelse av data og andre ressurser mellom næringslivet og academia må også støttes.
- **Samarbeid med regulatoriske organisasjoner:** At forskningsresultater raskt og effektivt kommer pasienter til gode krever engasjement og samarbeid med de viktigste europeiske og nasjonale regulatoriske myndighetene for å sikre at reguleringen er lett å forstå for forskerne og står i samsvar med risiko. Regulatorisk støttenettverk bør fremmes for å gi tilgang til veiledning i forbindelse med studiedesign, og for å overkomme potensielle flaskehalsar på et tidlig stadium.

- **Partnere utenfor Europa:** Udekkede behov for behandling og de samfunnsmessige konsekvensene av neurodegenerative sykdommer er et globalt problem. Dette faktum kan resultere i samarbeid om forskningsinnsats på området over hele verden. Slikt samarbeid bør være strategisk rettet og skape merverdi for JPNDs formål.
- **Kapasitetsbygging:** Visse deler av forskningen mangler kapasitet og må styrkes. Følgelig bør nettverk etableres mellom forskere på tvers av disipliner (tverrfaglig samarbeid). En spesiell innsats er nødvendig for å fremme klinisk og translasjonell forskning samt å øke antall ND-forskere med kompetanse innenfor helseøkonomi, statistikk, modelleringsbiologi og bioinformatikk. For å sikre høy kvalitet i helse- og omsorgstjenesten på bred basis over hele Europa, kan det opprettes kompetansesentre med formål å veilede i planlegging av studier, evaluering av tiltak, samt veivalg innen pleie og omsorg.
- **Utdanning og opplæring:** Rådene som fagfolk i helse- og sosialtjenesten gir til pasienter med neurodegenerative sykdommer bør være basert på god forståelse av den spesifikke ND-lidelsen, pasientens behov og de tilgjengelige kunnskapsbaserte behandlingsoalternativene. Utdannelse og opplæring i klinisk praksis og forskning bør tilpasses dette spesielt. Særlig innenfor helse-, omsorg- og sosialtjenesten bør det innarbeides en grunnleggende god kultur for forskning. Parallelt med dette er det viktig å fremme folkehelsen for å bidra til å redusere de risikofaktorene for ND som er forbundet med usunn livsstil. Særlig forskning på hvordan man best kan få til atferdsendring på befolkningsnivå, vil fremme folkehelsen.
- **Kobling mot beslutningstakere:** JPND vil gi et rammeverk for å fremme viktige saker som landene kan enes og samarbeide om, for nasjonale politiske beslutninger. To utfordringer må nevnes spesielt, for det første implementering av nye teknologier eller praksis, for eksempel innenfor telemedisin, omsorgsboliger og tjenestelevering, og for det andre å sikre at forskningsresultater effektivt tas i bruk i offentlig helsepolitikk og -praksis.
- **Kommunikasjon og oppsøkende virksomhet:** For å oppnå effektiv omsetting av forskningsresultater i politikk og praksis, må forskningsagendaen inkludere et bredt spekter av sektorer. JPND skal sikre at alle lokale interessenter er godt informert om pågående ND-forskning og nye forskningsresultater. JPND vil sette ND-forskning på dagsorden blant beslutningstakere, pasienter, pårørende, pasientorganisasjoner og helsepersonell spesielt. Formålet med JPND er også å bidra til å øke forskningsdeltakelsen og å redusere skammen (stigma) som er forbundet med neurodegenerative sykdommer.

3. Overlevering av forskningsstrategien

Denne strategiske forskningsplanen gir en ramme for mulighetene for landene som er involvert i JPND og villige til å delta i felles aktiviteter. Strategien vil bli implementert både gjennom felles aktiviteter, som på ulike måter kopler nasjonale investeringer for å oppnå betydning og effekt, og gjennom beslutninger om bidra til ny og økt forskningsfinansiering. Et styrende prinsipp vil være at forskningen som støttes er av høyeste vitenskapelige kvalitet.

4. Sammendrag

JPND er et banebrytende eksempel på «Joint Programming» (felles programsatsing), et nytt og fleksibelt program som har potensial til å møte en stor samfunnsmessig utfordring som ikke kan løses gjennom nasjonale forskningsprogrammer alene. Dette dokumentet beskriver en felles visjon for de 24 europeiske medlemslandene i JPND. Det gir en strategisk mulighet for finansiering av forskning av høyeste internasjonale kvalitet som kan utnytte nye vitenskapelige muligheter og overkomme barrierer, og gi nye innfallsvinkler til forebygging, intervensjon og omsorg. Anbefalingene i forskningsstrategien adresserer hele spekteret av forskning og andre aktiviteter som er nødvendig for å oppnå effekt, og anerkjenner den viktige rollen som andre interessegrupper (stakeholders) har i å sette dette på dagsorden. Det endelige målet er å bidra til forskning som resulterer i bedre helse, livskvalitet og velvære for pasienter med neurodegenerative sykdommer, deres familier og pårørende, og som gir økonomisk og samfunnsmessig nytte i hele Europa.