

JPND Research Strategy

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

Streszczenie



JPND
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

1. Kontekst i cel Strategii Badań Naukowych

Choroby zwyrodnieniowe centralnego układu nerwowego (ND) są upośledzającymi i nieuleczalnymi chorobami związanymi z wiekiem. Wśród tych chorób największe obciążenie stanowią demencje, na czele z chorobą Alzheimera i innymi chorobami z nią związanymi, którymi dotknięte jest około 7 milionów ludzi w Europie i spodziewane jest, że ta liczba będzie podwajać się co 20 lat z powodu starzenia się społeczeństwa. Obecnie koszt opieki nad osobami cierpiącymi na demencje wynosi w Europie ok. 130 miliardów rocznie, co powoduje, że choroby neurodegeneracyjne związane z wiekiem są jednym z najważniejszych medycznych i społecznych wyzwań, jakie stoją przed społeczeństwem.

Europejski wspólny program badań naukowych chorób zwyrodnieniowych centralnego układu nerwowego (Joint Programming initiative on combating neurodegenerative diseases, in particular Alzheimer's disease - **JPND**) jest innowacyjną inicjatywą współpracy w badaniach naukowych, powołaną do walki z rosnącymi wyzwaniami powodowanymi przez choroby neurodegeneracyjne. Jej celem jest wzmocnienie wpływu badań naukowych prowadzonych w ramach krajowych programów i zidentyfikowanie wspólnych celów, które mogą odnieść korzyści ze wspólnych działań. Ta strategia badań zapewnia ramy dla przyszłych inwestycji i wskazuje, jak europejski wysiłek badawczy może bardziej efektywnie przyczynić się do poprawy prewencji, diagnostyki, leczenia i opieki nad pacjentem w tych upośledzających funkcje poznawcze i życiowe chorobach.

2. Priorytety naukowe i działania do ich realizacji

Priorytety naukowe

Aby uzyskać odpowiedni efekt badań naukowych należy przyjąć nowoczesne i multidyscyplinarne podejście oraz wzmocnić i rozszerzyć istniejące możliwości pełnego spektrum badań podstawowych, klinicznych, dotyczących opieki medycznej i socjalnej oraz badań translacyjnych. Dla przyszłych wspólnych badań w ramach JPND zidentyfikowano następujące priorytety:

- **Pochodzenie chorób zwyrodnieniowych centralnego układu nerwowego:** potrzebne jest dalsze poszerzanie wiedzy na temat przyczyn ND, czynników ryzyka i odporności, zdarzeń wywołujących chorobę. Określenie populacji narażonych na ryzyko powinno ostatecznie prowadzić do strategii prewencyjnych, co będzie wymagać badań naukowych do odkrycia nowych genetycznych, epigenetycznych i środowiskowych czynników ryzyka dla ND oraz oceny ich wzajemnego oddziaływania. Związana z tym jest potrzeba lepszego zrozumienia normalnego procesu starzenia i jego wpływu na rozwój i progresję chorób neurodegeneracyjnych. Identyfikacja środowiskowych i behawioralnych modulatorów tych procesów zapewni też wgląd w czynniki chroniące przed chorobą.
- **Mechanizm i modele choroby:** Pełniejsze zrozumienie podstawowych mechanizmów choroby jest konieczne do rozwoju nowego diagnostycznego i terapeutycznego podejścia, jak również do określenia właściwego „okna czasowego” do podjęcia interwencji. Konieczne jest również opracowanie nowych modeli komórkowych i zwierzęcych kluczowych elementów procesu chorobowego, z uwzględnieniem takich czynników jak progresywny charakter chorób neurodegeneracyjnych, chorób towarzyszących, płci i starzenia. Wysiłki powinny być też skierowane na wyodrębnienie biologicznych i środowiskowych podstaw behawioralnych i psychologicznych symptomów chorób neurozwyrodnieniowych.
- **Definicja i diagnoza choroby:** Standardy oceny klinicznej nie zdają egzaminu w uchwyceniu złożoności często spotykanych chorób neurodegeneracyjnych, konieczne jest zatem udoskonalenie i zaktualizowanie obecnych kryteriów diagnostycznych. Różne formy i podtypy ND, włączając stadia przed pojawieniem się objawów klinicznych, wymagają lepszej definicji jak również nowych narzędzi diagnostycznych, które pozwolą na wcześniejsze i dokładniejsze wykrycie tych chorób. Istotne jest poszukiwanie nowych biomarkerów, związku pomiędzy badaniami ludzi i badaniami opartymi na zwierzętach, jak również zapewnienie mierników progresji choroby, prognozowania i efektu terapeutycznego. Standaryzacja i harmonizacja tych narzędzi

i metod oceny jest krytyczna dla zapewnienia porównywalności wyników i prowadzenia badań międzyośrodkowych.

- **Terapia i prewencja:** Postęp w identyfikacji nowych celów terapeutycznych i rozwój nowych leków może się dokonać przez pobudzenie dwukierunkowego związku pomiędzy badaniami modeli zwierzęcych i komórkowych oraz badaniami ludzi. Opracowanie procedur dla poprawienia selekcji do badań klinicznych mogą także zwiększyć szansę dla wykazania większej skuteczności nowych terapii. Badania powinny również prowadzić do rozwoju interwencji psychologicznych, ze zwróceniem szczególnej uwagi na promocję włączenia społecznego i zaangażowania opiekunów, podczas gdy stworzenie kohort pacjentów z przedklinicznymi objawami ND zapewni platformę do przyszłego testowania sposobów interwencji w prewencji lub powolnej progresji choroby. Długoterminowy sposób podejścia powinien pobudzać strategie regeneracyjne i rozwijać nowe sposoby podawania i transportu leków i środków biologicznych do specyficznych miejsc w mózgu i układzie nerwowym.
- **Opieka medyczna i socjalna:** Obecnie występuje niedostateczna koordynacja pomiędzy systemami opieki medycznej i socjalnej w poszczególnych krajach. Wymagana jest zatem ocena równości w dostępie do diagnostyki, leczenia, opieki i wsparcia dla chorych z ND oraz ewaluacja efektywności systemów opieki w zestawieniu z ponoszonymi kosztami w różnych krajach europejskich. Ponadto konieczna jest identyfikacja najważniejszych czynników wpływających na niepełnosprawność i jakość życia w chorobach neurodegeneracyjnych, włączając w to efekty towarzyszących powikłań, sposobu odżywiania i osłabienia, wzajemne relacje z rodziną, opiekunami i otoczeniem, system opieki medycznej i socjalnej. Należy też podkreślić fakt, że obecne podstawy naukowe strategii terapeutycznych w dużej mierze oparte są na intensywnych i krótkotrwałych badaniach, które nie przekładają się na realne działania, podczas gdy bardziej oczekiwane są wyniki, które lepiej odpowiadają potrzebom pacjentów i opiekunów. Technologie wspierające samodzielne życie mogą być skierowane na potrzeby pacjentów z ND i ich opiekunów we wczesnych i umiarkowanych stadiach choroby, jednak większy nacisk powinien być położony na szczególne obciążenie powodowane przez choroby neurodegeneracyjne w przeciwieństwie do koncentrowania się ogólnie na problemach starzenia. Powinny być podjęte także badania w obszarze opieki paliatywnej i opieki w końcowym stadium życia, które razem z innymi obszarami badań chorób zwyrodnieniowych centralnego układu nerwowego powinny integrować badania naukowe ze złożonymi problemami etycznymi związanymi z tymi chorobami.

Działania umożliwiające realizację priorytetów naukowych

Aby osiągnąć postęp w wyżej wymienionych priorytetowych tematach konieczne będzie podjęcie szeregu działań:

- **Poznanie możliwości badawczych:** Przeprowadzono mapowanie badań naukowych na poziomie krajowym i europejskim aby zidentyfikować braki oraz te obszary do których wskazane jest skierowanie lepszej koordynacji i większych środków finansowych. Uzyskane wyniki są podstawą do stworzenia publicznie dostępnej bazy danych, która będzie prezentować bieżące badania chorób neurodegeneracyjnych prowadzone w Europie i przez to przyczyni się do lepszego wykorzystania zasobów i infrastruktury badawczej.
- **Wspierająca infrastruktura i platformy:** W staraniach o stworzenie odpowiedniego środowiska dla badań chorób neurodegeneracyjnych konieczne jest wsparcie integracji, harmonizacji danych i materiałów oraz otwartego dostępu do ich wykorzystania. Wystandardyzowane wytyczne, metody i narzędzia zbierania i analizy danych powinny przyczynić się np. do spełnienia wymagań platform technologicznych i biobankowania oraz lepszego wykorzystania kohort populacyjnych. Wskazany jest przegląd ramowych zasad polityki, aby umożliwić prowadzenie badań w pełnym zakresie struktur opieki medycznej, z włączeniem szpitali powszechnych, podstawowej opieki medycznej i opieki środowiskowej.

- **Współpraca z przemysłem:** Wiele różnorodnych organizacji komercyjnych zaangażowanych jest w badania chorób neurodegeneracyjnych, od sektora farmaceutycznego, diagnostycznego i biotechnologicznego po dostawców usług umożliwiających samodzielne funkcjonowanie chorego i opieki medycznej, z przemysłem wytwarzającym urządzenia do opieki domowej włącznie. Powiązanie pomiędzy sektorem akademickim i komercyjnym jest niezbędne, aby stworzyć nowy sposób podejścia do zagadnień leczenia i opieki. Powinna być też popierana wymiana zasobów i danych pomiędzy przemysłem i instytucjami naukowymi.
- **Współpraca z instytucjami regulacyjnymi:** Pobudzanie do efektywnego przełożenia wyników badań naukowych na korzyści dla chorych wymaga zaangażowania i współpracy z kluczowymi europejskimi i krajowymi instytucjami regulacyjnymi aby zagwarantować, że przepisy są zrozumiałe dla badaczy i proporcjonalne do ryzyka. Powinny być promowane sieci prawnego wsparcia, aby zapewnić dostęp do pomocy w projektowaniu badań i zidentyfikowaniu „wąskich gardeł” na wczesnym etapie.
- **Międzynarodowe partnerstwo z krajami poza Europą:** Wiadomo, że niespotykane potrzeby kliniczne i społeczny wpływ chorób neurodegeneracyjnych stanowią problem globalny i szansą dla badań europejskich może być włączenie się do światowych wysiłków badawczych w tym obszarze. Taka współpraca powinna być strategicznie zarządzana i powinna oferować wyraźną wartość dodaną do celów JPND.
- **Budowanie zdolności badawczych:** Niektóre obszary badań ND wymagają wzmocnienia. Powinny być stworzone sieci pomiędzy dyscyplinami i badaczami, przy czym szczególny wysiłek jest konieczny, aby promować badaczy klinicznych i specjalistów w badaniach translacyjnych, zwiększyć liczbę badaczy chorób neurodegeneracyjnych wyspecjalizowanych w ekonomice zdrowia, statystyce, biologii obliczeniowej i bioinformatyce. W celu zapewnienia doskonałości w obszarze opieki medycznej i socjalnej, opartej na przejrzystych zasadach w całej Europie, mogłyby być stworzone centra metodyczne, aby wesprzeć rozwój badań i ocenę interwencji, usług i kierunków opieki.
- **Edukacja i szkolenie:** Porady zapewniane pacjentom z chorobami neurodegeneracyjnymi przez gamę różnych specjalistów w zakresie opieki medycznej i socjalnej powinny być oparte na pełnym zrozumieniu choroby, potrzeb pacjenta charakterystycznych dla tych chorób i dostępnych, opartych na naukowych podstawach, wskazaniach terapeutycznych. Kliniczne i naukowe programy edukacyjne i szkoleniowe powinny być dostosowane do tego celu i starać się budować kulturę badań w pełnym zakresie opieki medycznej i socjalnej. Oprócz tego konieczne jest szeroka edukacja zdrowotna, aby zmniejszyć czynniki ryzyka chorób neurodegeneracyjnych powiązane z niezdrowym stylem życia. Powinna być ona oparta na badaniach, w jaki sposób najlepiej wpłynąć na zmianę zachowań w społeczeństwie.
- **Powiązania z polityką:** JPND wypracuje ramy, które podkreślą ważne problemy do rozważenia w polityce krajowej, co powinno zapewnić kompatybilność w sposobie podejścia do problemów związanych z ND w różnych krajach. Szczególnej uwagi wymaga: implementacja nowych technologii np. w obszarze telemedycyny, urzędzeń wspomagających samodzielne funkcjonowanie oraz zapewnienie efektywnego wprowadzania wyników badań w działania w zakresie polityki zdrowotnej.
- **Informowanie i rezultaty:** Dla efektywnego wdrożenia w politykę i praktykę program badań musi łączyć i angażować szeroką gamę sektorów. Wszyscy interesariusze będą mieli zapewnioną informację o prowadzonych badaniach i ich wynikach, przez co wzrośnie świadomość i poparcie dla badań chorób neurodegeneracyjnych wśród decydentów, pacjentów, organizacji pacjentów i opiekunów oraz ogółu społeczeństwa. Pomoże to również w zwiększeniu udziału w badaniach i zmniejszy stygmatyzację chorób neurodegeneracyjnych.



3. Realizacja Strategii Badań

Strategia badań stanowi ramowe możliwości dla krajów uczestniczących w inicjatywie “Wspólnego Programowania” i wyrażających chęć udziału we wspólnych akcjach, z uwzględnieniem krajowych programów, aby osiągnąć większy wpływ i zapewnić nowe drogi finansowania. Podstawową zasadą będzie wspieranie badań najwyższej jakości.

4. Podsumowanie

Joint Programming initiative on combating neurodegenerative diseases, in particular Alzheimer’s disease jest pionierskim przykładem “wspólnego programowania”, nowego podejścia do ważnych wyzwań społecznych, które nie mogą być rozwiązane wyłącznie przez krajowe programy. Ten dokument określa wspólną wizję 24 krajów europejskich zaangażowanych w tę inicjatywę, i stanowi strategiczne podejście do wspierania badań na światowym poziomie, które pomoże wykorzystywać istniejące możliwości, zmierzyć się z barierami stojącymi na drodze postępu i zapewnić nowe podejście do prewencji, interwencji i opieki. Rekomendacje nakreślone w Strategii Badań skierowane są do pełnego spektrum badań i sposobów podejścia do problemu. Uznają też ważną rolę innych grup interesariuszy, jaką odegrali oni w opracowaniu tego programu. Ostatecznym celem jest podjęcie badań, które przełożą się na nowe sposoby interwencji, poprawią stan zdrowia i zadowolenia z życia pacjentów, ich rodzin i opiekunów oraz przyniosą korzyści ekonomiczne i społeczne wszystkim krajom Unii Europejskiej.

www.neurodegenerationresearch.eu

