

JPND Research Strategy

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

Sumário Executivo



JPND
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

1. Antecedentes e Finalidade da Estratégia de Investigação

As doenças neurodegenerativas (DN) são doenças debilitantes, em grande medida sem tratamento, e fortemente associadas ao envelhecimento. Entre estas doenças, as demências representam o maior encargo, sendo cerca de 7 milhões o número de pessoas afectadas na Europa pela doença de Alzheimer e distúrbios relacionados. À medida que a população envelhece espera-se que este número duplique a cada 20 anos.

Atualmente os custos dos cuidados com pessoas que sofrem de demência na Europa ascendem a aproximadamente 130 milhares de milhões de euros por ano, destacando-se as ND relacionadas com o envelhecimento, como um dos principais desafios médicos e sociais da atualidade.

A Programação Conjunta da UE - Investigação de Doenças Neurodegenerativas (JPND, Joint Programme - Neurodegenerative Disease Research) é uma iniciativa inovadora de investigação colaborativa criada para enfrentar os crescentes desafios colocados pelas DN. O seu objetivo é aumentar o impacto da investigação, harmonizando e elaborando programas nacionais já existentes, identificando metas comuns que beneficiariam de ação conjunta. Esta Estratégia de Investigação proporciona um enquadramento para investimentos futuros e procura as formas mais eficazes de dirigir os esforços da investigação para a melhoria da prevenção, diagnóstico, tratamento e cuidados a prestar aos pacientes nestes estados debilitantes.

2. Prioridades Científicas e Atividades de Capacitação

Prioridades científicas

Para alcançar um nível de impacto é necessário promover abordagens inovadoras e multidisciplinares, assim como fortalecer e expandir capacidades existentes ao longo do espectro da investigação básica, clínica, cuidados de saúde e sociais, e translacional. Foi identificado para a investigação futura um grupo de prioridades temáticas:

- **A origem das doenças neurodegenerativas (DN):** É necessário um conhecimento mais profundo das causas de DN específicas, dos fatores que determinam o risco e a resiliência dos indivíduos, e dos eventos que despoletam a doença. A caracterização das populações 'em risco' deveria, em última análise, indicar estratégias de prevenção, o que implicará desenvolver investigação para descobrir novos fatores de risco genéticos, epigenéticos e ambientais para as DN, e avaliar a sua inter-relação. Paralelamente, é preciso compreender melhor o processo normal de envelhecimento e a forma como este se relaciona com o desenvolvimento e a progressão das DN. A identificação de moduladores ambientais e comportamentais destes processos também proporcionará conhecimento sobre os fatores que determinam a proteção da, e a resiliência à doença.
- **Mecanismos de doenças e modelos:** É necessária uma compreensão mais abrangente dos mecanismos subjacentes à doença, de modo a sustentar o desenvolvimento de novas abordagens de diagnóstico e terapêutica, bem como definir "janelas de tempo" apropriadas para a intervenção. Entre as múltiplas abordagens possíveis, existe a necessidade de estabelecer novos modelos celulares e animais que reproduzam com precisão os elementos-chave do processo de doença, e que tenham em conta fatores tais como a natureza progressiva das DN, comorbilidades, género e envelhecimento. É também necessário desenvolver esforços que permitam elucidar as bases biológicas e ambientais dos sintomas comportamentais e psicológicos das DN.
- **Definição de doenças e diagnóstico:** Neste momento, as avaliações clínicas-padrão não conseguem captar a presumível complexidade das DN comuns, tornando-se necessário o aperfeiçoamento e atualização dos critérios atuais de diagnóstico. As várias formas e subtipos de DN, incluindo os estádios anteriores ao aparecimento dos sintomas clínicos, carecem de melhor definição, enquanto é necessário aperfeiçoar ou inovar os instrumentos de diagnóstico, que permitam a deteção mais precoce e precisa das DN. São também essenciais novos

biomarcadores, que permitam estabelecer a ligação entre estudos realizados em humanos e em modelos animais, assim como fornecer medidas de progressão da doença, prognóstico e de efeitos de tratamento. A padronização e harmonização de tais instrumentos será de importância crítica para assegurar a comparabilidade dos resultados e apoiar estudos inter-centros.

- **Tratamentos e prevenção:** O progresso na identificação de novos alvos terapêuticos e no desenvolvimento de medicação contra estas doenças será melhorado se for promovida a correlação entre estudos em pacientes e em modelos animais e celulares. Simultaneamente, os procedimentos para melhorar a seleção (ou estratificação) dos indivíduos que entram em ensaios clínicos também poderiam oferecer melhores hipóteses para demonstrar a eficácia clínica de novos tratamentos. Deveriam ser apoiados estudos que aprofundem as intervenções psicossociais, com o objectivo de promover a inclusão social e o envolvimento dos cuidadores, enquanto o estabelecimento de coortes de pacientes em fase pré-clínica proporcionaria uma plataforma para futuros testes das intervenções realizadas, quer para prevenir, quer para desacelerar a progressão da doença. Por último, são necessárias abordagens de longo-prazo que promovam estratégias regenerativas e permitam desenvolver novos sistemas para o direcionamento e libertação de fármacos químicos e biológicos em áreas específicas do cérebro e do sistema nervoso.
- **Cuidados em saúde e assistência social:** Atualmente, há países onde a coordenação entre os sistemas de saúde e de assistência social é pouco eficiente, o que requer uma avaliação da equidade de acesso e eficácia, e da relação custo-eficácia dos métodos de diagnóstico, tratamento, prestação de cuidados e apoio às DN, em toda a Europa. É preciso identificar fatores nas DN que tenham impacto na incapacidade e qualidade de vida relacionada com a saúde, incluindo os efeitos da comorbilidade, nutrição e fragilidade, e a interação com a família, os cuidadores, o ambiente, e os sistemas de saúde e assistência social. É igualmente necessário ter em conta o facto de que a base atual de evidências para as estratégias terapêuticas é em larga medida derivada de estudos intensivos e a curto prazo que não refletem imediatamente cenários do 'mundo real'. Ao mesmo tempo, são necessárias medidas aperfeiçoadas dos resultados, de forma a melhor refletirem as perspetivas dos pacientes e dos cuidadores. As tecnologias de assistência à vida podem ajudar a responder às necessidades dos pacientes com DN e dos respetivos cuidadores, quer na fase precoce quer em estados moderados da doença, ainda que o maior ênfase deva ser colocado na abordagem ao "peso" específico das DN e não ao envelhecimento em geral. É igualmente necessário levar a cabo investigação adicional para informar os cuidados paliativos e de fim-de-vida, a qual juntamente com outras áreas da investigação das DN, deveria integrar de modo adequado a investigação das questões éticas complexas relativas às DN.

Atividades de capacitação

Para o desenvolvimento dos temas científicos acima delineados será necessário um conjunto de atividades transversais, nomeadamente:

- **Conhecer a nossa capacidade de investigação:** O mapeamento da atividade de investigação em DN aos níveis nacional e europeu tem sido feita de modo a identificar não apenas lacunas da investigação, mas também oportunidades que podem ser abordadas através de uma melhor coordenação e investimento. Deste modo, foi elaborada uma base de dados pública que não só tornará visível a investigação em DN em curso na Europa, mas também promoverá uma melhor utilização de recursos e infraestruturas.
- **Infraestruturas e plataformas de apoio:** Ao procurar-se criar um ambiente favorável à investigação em DN, é necessário encorajar a integração e harmonização de dados e materiais, assim como promover uma abordagem de 'acesso aberto' à sua utilização. Devem promover-se linhas orientadoras, métodos e instrumentos padronizados, para a recolha e análise de dados, por exemplo, para responder aos requisitos de plataformas tecnológicas de elevada produtividade e às atividades dos biobancos, e para explorar melhor os coortes de populações. Deverão ser revistos os enquadramentos de políticas de saúde de modo a facilitar a investigação através do vasto leque de estruturas de cuidados de saúde, incluindo hospitais e centros de cuidados primários e comunitários.

- **Trabalhar em parceria com a indústria:** Muitas organizações comerciais, com atividades que variam desde os sectores farmacêutico, de diagnóstico e de biotecnologia até à assistência de vida e aos cuidadores de saúde, incluindo os cuidados domiciliários, desenvolvem investigação em DN. A ligação entre e através dos domínios académico e empresarial é crucial para trazer à luz novas abordagens ao tratamento e aos cuidados. O intercâmbio de dados e de recursos entre a indústria e academia também deve ser promovido.
- **Trabalhar com organizações reguladoras:**
A promoção da translação eficaz da investigação até ao benefício do paciente requer empenho e cooperação com as agências reguladoras-chave a nível nacional e europeu, de modo a assegurar que a regulação é facilmente compreendida pelos investigadores e proporcional ao risco. Deverão ser promovidas redes de apoio regulatório para dar acesso a orientações relativas à concepção do estudo e à resolução de potenciais estrangulamentos numa fase inicial.
- **Parcerias internacionais para além da Europa:**
É sabido que a lacuna clínica por resolver e o impacto das DN na sociedade são problemas globais, e que poderão surgir oportunidades para estabelecer ligações com esforços de investigação a nível mundial nesta área. Tal cooperação deverá ser estrategicamente direcionada e oferecer valor acrescentado evidente aos objetivos da JPND.
- **Capacitação:** Certas áreas da investigação estão pouco capacitadas e necessitam de ser reforçadas. Desta forma, deverão estabelecer-se redes através e entre disciplinas e investigadores, ao mesmo tempo que é necessário um esforço particular para promover investigadores clínicos e especialistas translacionais, bem como aumentar o número de investigadores em DN com especialização em economia da saúde, estatística, biologia computacional e bioinformática. De modo a assegurar que a excelência nos cuidados de saúde e assistência social se estende a uma base mais alargada a nível europeu, deverão ser criados núcleos metodológicos para apoiar o desenvolvimento e avaliação de vias de intervenção, serviços e cuidados.
- **Educação e formação:** O aconselhamento providenciado aos pacientes com DN através do leque de diferentes profissionais de saúde e de assistência social deverá basear-se num sólido conhecimento da doença, nas necessidades características dos doentes, e nas opções disponíveis de tratamento com base em evidências. O ensino clínico e de investigação e os programas de formação deverão ser concebidos para promover este conhecimento, e procurar instalar uma cultura de investigação no vasto espectro dos cuidados de saúde e assistência social. Paralelamente, há a necessidade de promover mensagens de saúde dirigidas ao público em geral no sentido de ajudar a identificar e prevenir os fatores de risco para as DN que estejam associados a um estilo de vida pouco saudável. A comunicação em saúde dirigida à comunidade deve ser apoiada pela investigação, de modo a promover mais eficazmente a mudança de comportamento ao nível da população.
- **Ligação aos decisores políticos:** A JPND proporcionará um enquadramento através do qual se podem destacar tópicos importantes para consideração política a nível nacional, o que promoverá a compatibilidade entre as abordagens políticas de diferentes países. Duas lacunas translacionais nas DN têm de ser resolvidas, nomeadamente, na implementação de novas tecnologias ou práticas, por exemplo na área da telemedicina, assistência de vida ou na provisão de serviços, e assegurando que haja uma implementação efetiva dos resultados ao nível das políticas de saúde pública.
- **Comunicação e divulgação:** Para uma aplicação eficaz a nível de políticas e práticas, a agenda estratégica tem de relacionar e comprometer um vasto leque de sectores. A JPND assegurará que todas as comunidades intervenientes estão bem informadas sobre a investigação em curso em DN e sobre os seus resultados, aumentando o conhecimento e o apoio à investigação em DN entre os decisores políticos, os doentes, as associações de doentes e os cuidadores e o público em geral. Isto deverá também ajudar a aumentar a participação na investigação e a reduzir o estigma relacionado com as DN.



3. Concretização da Estratégia de Investigação

A Estratégia de Investigação proporciona aos países envolvidos no JPND e que queiram participar em ações conjuntas, um quadro de oportunidades que serão implementadas através de atividades cooperativas, realinhando ou agregando investimentos nacionais de modo a alcançar maior impacto, e também através de novos financiamentos. Como princípio orientador para a sua concretização, a investigação a apoiar deverá ser da mais elevada qualidade científica.

4. Sumário

O JPND é um exemplo pioneiro de 'Programação Conjunta', uma abordagem nova e flexível com a capacidade de enfrentar um grande desafio da sociedade que não pode ser resolvido exclusivamente através de programas nacionais. Este documento apresenta a visão comum dos 24 países europeus envolvidos, fornecendo uma abordagem estratégica de apoio à investigação de excelência a nível mundial que pode explorar oportunidades científicas emergentes, ultrapassar barreiras ao progresso e proporcionar novas abordagens na prevenção, na intervenção e nos cuidados. As recomendações descritas na Estratégia de Investigação abordam os diversos campos da investigação nesta área e as aproximações necessárias para se alcançar um maior nível de impacto, reconhecendo a importância do papel de outros grupos intervenientes na implementação desta agenda. O objetivo final é desenvolver investigação que possa ser traduzida em novas intervenções, que melhorem a saúde e o bem-estar dos doentes que sofrem de DN, das suas famílias e dos cuidadores, e que tragam benefícios económicos e sociais para toda a União Europeia.

www.neurodegenerationresearch.eu

