

JPND Research Strategy

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

Súhrnný prehľad



JPND
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

1. Súvislosti a zámer Stratégie výskumu

Neurodegeneračné ochorenia sú hendikepujúce a zväčša nevyliciteľné stavy, ktoré úzko súvisia s vekom. K najväznejším z nich patria demencie, pričom Alzheimerovou chorobou a s ňou súvisiacimi poruchami je postihnutých v Európe asi 7 miliónov ľudí. V dôsledku starnutia európskej populácie sa očakáva, že tento počet sa každých 20 rokov zdvojnásobí. Starostlivosť o pacientov postihnutých demenciami v Európe v súčasnosti stojí asi 130 miliárd € ročne. Neurodegeneračné ochorenia súvisiace s vekom sa tak stávajú jedným z najväčších zdravotných a sociálnych problémov, ktorým čelí naša spoločnosť.

Iniciatíva členských štátov EÚ pod názvom Spoločná tvorba programov v oblasti výskumu neurodegeneračných ochorení (Joint Programming in Neurodegenerative Disease Research – ďalej len „JPND“) predstavuje novú inovatívnu formu spolupráce vo výskume zameranú na boj proti rastúcemu výskytu neurodegeneračných ochorení. Jej cieľom je zefektívniť výskum založený na spojení existujúcich štátnych programov a identifikovať ciele spoločných aktivít, ktoré by profitovali zo spolupráce. Táto stratégia výskumu poskytuje rámec pre budúce investície a návrhy lepšieho využitia výsledkov európskeho výskumného úsilia pre zlepšenie prevencie, diagnostiky a liečby neurodegeneračných ochorení, ako aj starostlivosti o postihnutých pacientov.

2. Výskumné priority a možnosti ich implementácie

Výskumné priority

Zvýšenie efektívnosti výskumu a prenosu jeho výsledkov do praxe si vyžaduje interdisciplinárny prístup a rozširovanie existujúcich kapacít v rámci celého spektra základného a klinického výskumu, ďalej výskumu v oblasti zdravotnej a sociálnej starostlivosti, ako aj translačného výskumu. Pre ďalší výskum boli za prioritné označené tieto oblasti:

- **Vznik neurodegeneračných ochorení (ďalej len NO):** Je potrebné získať ďalšie poznatky o príčinách vzniku jednotlivých druhov NO, o faktoroch, ktoré ovplyvňujú riziko ochorenia človeka na NO, resp. jeho odolnosť voči nim, alebo ochorenie spúšťajú. Úlohou výskumu je definovať nové genetické, epigenetické ako aj environmentálne rizikové faktory, ich vzájomné pôsobenie a charakterizovať tak „ohrozenú“ časť populácie, čím sa vytvorí základ pre stratégiu prevencie. Ďalej je potrebné lepšie porozumieť normálnemu procesu starnutia a jeho úlohe v rozvoji a progrese NO. Identifikácia environmentálnych modulátorov a vplyvu životného štýlu na tieto procesy poskytne taktiež informácie o faktoroch determinujúcich ochranu pred NO a prevenciu voči nim.
- **Mechanizmus ochorení a ich modely:** Aby bolo možné začať s vývojom nových diagnostických a terapeutických postupov, je potrebné dôkladnejšie porozumieť mechanizmu ochorení, ako aj presne definovať vhodný čas pre intervenciu. Spomedzi rozmanitých výskumných stratégií potrebných na objasnenie NO, je treba vytvoriť nové bunkové a zvieracie modely, ktoré by správne reprezentovali kľúčové prvky procesu ochorenia a zohľadňovali progresivitu NO, asociované ochorenia, pohlavie a starnutie. Potrebné je tiež vyvinúť úsilie na objasnenie biologických a environmentálnych príčin zmien správania a psychologických symptómov NO.
- **Definícia ochorení a ich diagnostika:** Štandardnou klinickou diagnostikou nie je možné zachytiť celú komplexnosť bežných NO. Je preto potrebné spresniť a aktualizovať súčasné diagnostické kritériá. Rôzne formy a podskupiny NO vrátane štádií pred objavením sa klinických symptómov si vyžadujú presnejšiu definíciu, pričom sú potrebné aj lepšie diagnostické nástroje, čo by malo viesť ku včasnejšej a presnejšej detekcii NO. Dôležité sú nové biomarkery, ktoré by mali poskytnúť prepojenie medzi výskumom na zvieratách a ľuďoch a byť

meradlom progresu choroby, prognózy a efektívnosti liečby. Nevyhnutnou sa stane štandardizácia a harmonizácia postupov a diagnostiky, aby sa tak zabezpečila komparabilita výsledkov a podpora štúdií uskutočňovaných paralelne v niekoľkých centrách.

- **Liečba a prevencia:** Pokrok v identifikovaní nových terapeutických cieľov a vývoji liekov bude podporovaný pomocou obojsmernej konektivity medzi výsledkami štúdií na zvieracích a bunkových modeloch a klinických štúdií na pacientoch. Skvalitnenie postupov pri selekcii pacientov podrobovaných klinickým experimentom by zvýšilo šance preukázať klinickú efektívnosť nových liečiv. Štúdie by tiež mali iniciovať ďalší rozvoj psychosociálnych intervencií s ohľadom na podporu sociálnej integrácie a spoluprácu s ošetrovateľmi a osobami. Vytváranie kohort pacientov v predklinickom štádiu NO by vytvorilo platformu pre budúce testy intervencií s cieľom prevencie alebo spomalenia vývoja choroby. V neposlednom rade treba presadzovať dlhodobé postupy, ktoré podporujú regeneračné stratégie a vytvárať tak nový systém pre nasmerovanie a aplikáciu liečiv a biologických preparátov do špecifických miest v mozgu a nervovom systéme.
- **Zdravotná a sociálna starostlivosť:** Koordinácia medzi systémami zdravotnej a sociálnej starostlivosti jednotlivých krajín Európy je v súčasnosti neefektívna. Je preto nevyhnutné vypracovať porovnanie rovnosti prístupu k liečbe NO a starostlivosti o pacientov v celej Európe a to z hľadiska diagnostických postupov, účinnosti a finančnej efektívnosti diagnostiky, liečby a starostlivosti. Treba identifikovať kritické faktory, ktoré vplyvajú na postihnutie a kvalitu života z hľadiska zdravotného stavu spôsobeného NO, pričom treba zohľadniť vplyv komorbidít, výživy, fyzickej kondície, interakcie s rodinou a ošetrovateľmi ako aj životného prostredia a systému zdravotnej a sociálnej starostlivosti. Netreba tiež zabúdať na skutočnosť, že súčasné podporné dôkazy liečebných stratégií zväčša vychádzajú z intenzívnych a krátkodobých štúdií, ktoré sa ťažšie aplikujú do reálnych situácií. Treba zároveň vypracovať vylepšené výstupné parametre testov, ktoré odrážajú potreby pacienta a ošetrovateľa. Zdravotné pomôcky a technika môžu pomôcť pacientom a ich ošetrovateľom tak v počiatočnom, ako aj v pokročilom štádiu NO, avšak väčší dôraz treba klásť na uľahčovanie špecifických ťažkostí spôsobených NO ako tých spôsobených starnutím vo všeobecnosti. Výskum by sa mal taktiež zamerať na paliatívnu starostlivosť a starostlivosť o dožívajúcich pacientov, ktoré by mali spolu s ostatnými oblasťami vhodne integrovať výskum NO do komplexného etického celku.

Implementácia

Na realizáciu pokroku v oblastiach hore uvedených výskumných priorít bude potrebné niekoľko prierezových aktivít:

- **Poznanie európskej výskumnej kapacity:** Boli zmapované výskumné aktivity tak na úrovni jednotlivých štátov, ako aj na európskej úrovni, čo umožňuje identifikovať biele miesta na mape výskumu, ako aj možnosti jeho zlepšenia vyplývajúce z koordinácie a spoločného investovania. Takto sa vytvoril základ verejnej databázy, ktorá bude jednak slúžiť na informovanie o súčasnom výskume NO v Európe, ale taktiež prispeje k lepšiemu využívaniu zdrojov a infraštruktúry.
- **Podporná infraštruktúra a platformy:** S cieľom vytvoriť podporné prostredie pre výskum NO je potrebné podnecovať integráciu a harmonizáciu údajov a materiálov a podporiť otvorený prístup k ich používaniu. Treba podporiť štandardizáciu smerníc, metód a nástrojov pre zber a analýzu údajov, napr. pre vytvorenie vysoko kapacitných technologických platforiem a biobáň a pre lepšie využívanie populačných kohort. Aby bolo možné rozvíjať výskumné aktivity naprieč celým spektrom systému zdravotnej starostlivosti vrátane všeobecných nemocníc, lekárov prvého kontaktu a komunitnej starostlivosti, treba pristúpiť k revidovaniu pravidiel fungovania systému.
- **Spolupráca s podnikateľskou sférou:** Do výskumu NO sa zapája mnoho komerčných organizácií, počnúc farmaceutickým, diagnostickým a biotechnologickým priemyslom až po dodávateľov zdravotných pomôcok

a poskytovateľov zdravotnej starostlivosti vrátane domáceho ošetrovania. Spolupráca akademických a podnikateľských subjektov je nevyhnutná na vytvorenie nových postupov v liečbe a starostlivosti. Treba tiež podporovať výmenu zdrojov a údajov medzi podnikateľmi a akademickou obcou.

- **Spolupráca s regulačnými organizáciami:** Aby sa výsledky výskumu efektívne zavádzali do praxe a priniesli tak úžitok pre pacientov, bude potrebné zapojiť do procesu kooperácie kľúčové štátne a európske regulačné orgány. Treba dbať o to, aby bola príslušná legislatíva pre vedcov zrozumiteľná a tiež aby zohľadňovala riziká výskumu. Mali by sa vytvárať podporné siete, ktoré poskytnú poradenskú podporu pri zostavovaní formálnej stránky vedeckých štúdií a pomôžu riešiť možné problémy už v rannom štádiu.
- **Medzinárodné partnerstvo mimo Európy:** Všeobecne sa uznáva, že spoločenský vplyv NO a s nimi spojené zatiaľ nevyriešené klinické potreby sú globálnym problémom a je teda pravdepodobné, že vznikne potreba prepojenia európskeho výskumu s celosvetovým. Takúto spoluprácu treba strategicky usmerňovať tak, aby priniesla jednoznačnú pridanú hodnotu pre zábery JPND.
- **Vytváranie kapacít:** Niektoré oblasti výskumu nemajú dostatočnú výkonnosť a musia byť posilnené. Preto sa musí vytvoriť interdisciplinárna sieť medzi vedcami, pričom dôraz treba klásť na podporu klinického a translačného výskumu a zvýšiť počet odborníkov na NO v oblasti ekonomiky zdravotníctva, štatistiky, výpočtovej biológie a bioinformatiky. S cieľom zabezpečiť excelentnosť v zdravotnej a sociálnej starostlivosti na širšej báze v celej Európe je potrebné vytvárať metodologické centrá na podporu štúdií a vyhodnocovania intervencií, služieb a jednotlivých foriem starostlivosti.
- **Vzdelávanie a odborná príprava:** Poradenstvo, ktoré pacientom trpiacim na NO poskytujú odborníci v rámci zdravotnej a sociálnej starostlivosti sa musí zakladať na dobrých znalostiach o ochorení. Pacient potrebuje poznať charakteristiku svojho stavu a dostupné liečebné alternatívy, ktoré vychádzajú z experimentálne overených postupov. Treba vytvárať edukačné a tréningové programy s takýmto zameraním a snažiť sa zaviesť vedecké prístupy v rámci celého spektra zdravotnej a sociálnej starostlivosti. Okrem toho treba podporovať zdravotnícku osvetu a pomôcť tak znižovať tie rizikové faktory NO, ktoré sa spájajú s nezdravým životným štýlom. Verejná zdravotnícka osвета musí byť založená na výsledkoch výskumu, ktoré ukážu ako čo najefektívnejšie zmeniť rizikové životné návyky populácie.
- **Prepojenie na politickú sféru:** JPND vytvorí rámec pre definovanie dôležitých tém týkajúcich sa národných legislatív, ktorými sa treba zaoberať na politickej úrovni jednotlivých štátov a zabezpečiť tak ich kompatibilitu. V oblasti politiky je potrebné zaoberať sa najmä dvoma otázkami, ktoré boli doteraz nedostatočne riešené: po prvé je to implementácia nových technológií a postupov v praxi, napr. v oblasti telemedicíny, zdravotníckych pomôcok a poskytovania služieb, a po druhé je to implementácia najnovších výsledkov výskumu v oblasti legislatívy verejného zdravotníctva.
- **Komunikácia a propagácia:** Aby sa strategický výskumný program mohol efektívne implementovať do zdravotnej legislatívy a praxe, musí prechádzať a prepájať celý rad sektorov. JPND zabezpečí, aby všetky zúčastnené strany boli dobre informované o aktuálnom výskume NO a jeho výsledkoch, postará sa o zvýšenie informovanosti a podpory zo strany zodpovedných politikov, pacientov, ošetrovateľských organizácií a verejnosti. Toto by malo zintenzívniť záujem o výskum NO a redukovať stigma, spájanú s týmito ochoreniami.

3. Význam a úloha Stratégie výskumu

Táto stratégia tvorí rámec možností výskumu pre krajiny, ktoré sa zapájajú do JPND a chcú sa zúčastňovať na spoločných aktivitách. Tieto sa budú realizovať pomocou kooperácie, zosúladením a prepojením verejných investícií do výskumu NO v jednotlivých štátoch s cieľom zvýšenia efektivity nových investícií. Základným princípom bude, že financovaný výskum musí byť na najvyššej kvalitatívnej úrovni.

4. Zhrnutie

JPND je prvým príkladom „Spoločnej tvorby programov“ (Joint Programming), t.j. novej, flexibilnej formy spolupráce s ambíciou čeliť veľkým spoločenským výzvam, ktoré nie je možné riešiť len prostredníctvom štátnych programov jednotlivých krajín. Tento dokument predstavuje spoločnú víziu 24 zúčastnených európskych krajín a poskytuje stratégiu pre výskum na špičkovej svetovej úrovni pri využití všetkých súčasných a perspektívnych možností, navrhuje spôsoby odstraňovania prekážok výskumu a nové postupy v oblasti prevencie, intervencie a starostlivosti. Odporúčania obsiahnuté v Stratégii výskumu sa zaoberajú celým spektrom výskumných aktivít a postupov potrebných pre ich úspešnú realizáciu a prisudzujú dôležitú úlohu ostatným zúčastneným stranám. Hlavným cieľom je vykonávať výskum, ktorého výsledky bude možné aplikovať v nových terapeutických postupoch zlepšujúcich zdravie a zvyšujúcich kvalitu života pacientov trpiacich NO, ich rodín a ošetrovateľov, a ktoré tým prinesú hospodársky a spoločenský prínos pre celú Európsku úniu.

www.neurodegenerationresearch.eu