

JPND Research Strategy

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

Povzetek



JPND
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

1. Podlaga in namen strategije raziskovanja

Nevrodegenerativne bolezni (NB) so izčrpavajoča in večinoma neozdravljiva stanja, močno povezana s starostjo. Med temi motnjami največje breme predstavljajo demence, pri čemer Alzheimerjeva bolezen in sorodne motnje prizadenejo okrog 7 milijonov ljudi v Evropi, število pa naj bi se vsakih 20 let podvojilo zaradi staranja prebivalstva. Varstvo in zdravljenje bolnikov z demenco v Evropi trenutno stane okrog 130 milijard evrov letno, zaradi česar so neurodegenerativne bolezni, povezane s starostjo, eden največjih zdravstvenih in družbenih izzivov, s katerimi se sooča naša družba.

Skupni program EU – Raziskave neurodegenerativnih bolezni (JPND) — je inovativna, na sodelovanju temelječa raziskovalna pobuda, ki smo jo osnovali za reševanje vse večjih izzivov, ki jih predstavljajo NB. Cilj programa je povečati učinek raziskovanja z usklajevanjem in nadgradnjo obstoječih nacionalnih programov ter opredelitvijo skupnih ciljev, ki jim bo skupno delovanje koristilo. Ta raziskovalna strategija zagotavlja okvir za prihodnja vlaganja in odpira vprašanje, kako lahko kar najbolj učinkovito izkoristimo evropska raziskovalna prizadevanja za izboljšanje preventive, diagnosticiranja, zdravljenja in oskrbe bolnikov pri teh izčrpavajočih boleznih.

2. Znanstvene prednostne naloge in dejavnosti za spodbujanje

Znanstvene prednostne naloge

Za doseg učinka je treba spodbujati nove, pa tudi multidisciplinarne pristope in okrepiti ter okrepiti obstoječe zmogljivosti na vseh področjih osnovnega, kliničnega, zdravstvenega in socialnega varstva ter prenos raziskav. Določili smo številne tematske prednostne naloge za prihodnje raziskave:

- **Izvori neurodegenerativnih bolezni (NB):** potrebna je več znanja o vzrokih posameznih NB, dejavnikih, ki opredeljujejo tveganje in odpornost oseb, ter sprožilnih dejavnikih, ki vodijo v bolezen. Preventivne strategije naj kar najbolj upoštevajo opredelitev 'ogroženih' populacij, za to pa bodo potrebne raziskave za odkrivanje novih genetskih, epigenetskih in okoljskih dejavnikov tveganja za NB ter ocena njihovega součinkovanja. Poleg tega je treba tudi bolje razumeti običajen proces staranja in njegovo povezanost z razvojem in napredovanjem NB. Z opredelitvijo okoljskih in vedenjskih modulatorjev teh procesov bomo dobili tudi vpogled v dejavnike, ki določajo varovanje pred boleznijo in odpornost nanjo.
- **Mehanizmi in modeli bolezni:** Potrebno je popolnejše razumevanje temeljnih mehanizmov bolezni za podpiranje razvoja novih diagnostičnih in terapevtskih pristopov, pa tudi za določanje ustreznih časovnih vrzeli za ukrepanje. Med več pristopi, ki jih je treba obravnavati, je tudi potreba za vzpostavitev novih živalskih modelov in modelov na podlagi celic, ki natančno predstavljajo ključne elemente poteka bolezni ter upoštevajo dejavnike, kot so napredujoča NB, soboleznosti, spol in staranje. Potruditi se bomo morali tudi za to, da pojasnimo biološko in okoljsko podlago vedenjskih in psiholoških simptomov pri NB.
- **Opredelitve in diagnoze bolezni:** Standardne klinične ocene ne zajamejo predvidene celovitosti običajnih NB, zato potrebujemo podrobnejša in sodobnejša diagnostična merila. Različne oblike in podvrste NB, vključno s fazami pred začetkom kliničnih simptomov, zahtevajo boljše opredelitev, medtem ko za zgodnejše in natančnejše odkrivanje NB potrebujemo nova ali izboljšana diagnostična orodja. Bistvenega pomena so novi biomarkerji, prizadevati pa si je treba najti tudi povezave med preučevanjem ljudi in živali ter zagotoviti merila za napredovanje bolezni, prognozo in učinke zdravljenja. Standardizacija in harmonizacija teh pripomočkov in ocen bosta bistvenega pomena za zagotavljanje primerljivosti izsledkov in podpiranje raziskav med različnimi središči.
- **Zdravljenje in preprečevanje:** Napredek pri določanju novih ciljev in razvoju zdravil proti njim bomo izboljšali s spodbujanjem dvosmerne povezanosti med študijami živalskih in celičnih modelov ter bolniki, več možnosti za prikaz klinične učinkovitosti novih terapij pa lahko ponudijo tudi postopki za izboljšanje izbora (ali stratifikacije) oseb, na katerih se izvajajo klinični preskusi. Treba je spodbujati tudi študije za nadaljnji razvoj psihosocialnih intervencij, pri tem pa paziti na spodbujanje socialne vključenosti in sodelovanja negovalcev, medtem ko bi z ustanovitvijo skupin bolnikov s predkliničnimi NB dobili podlago za prihodnje preskušanje intervencij, s čimer bi

preprečili ali upočasnili napredovanje bolezni. Končno je treba izvajati tudi dolgoročneje pristope, ki spodbujajo regenerativne strategije in razvijajo nove sisteme za dostavo in ciljno usmerjanje zdravil in bioloških zdravil na specifične predele v možganih in živčnem sistemu.

- **Zdravstveno in socialno varstvo:** Trenutno je usklajenost zdravstvenih in socialnovarstvenih sistemov v posameznih državah neučinkovita, zaradi česar potrebujemo oceno enakosti dostopa in učinkovitosti ter stroškovne učinkovitosti poti do diagnoz, zdravljenja, varstva in pomoči za NB po Evropi. Treba je ugotoviti kritične dejavnike, ki vplivajo na nesposobnost in z zdravjem povezano kakovost življenja (KŽ) pri NB, vključno z učinki soobolevnosti, prehrane in oslabelosti, ter povezanost z družino, negovalci, okoljem ter zdravstvenimi in socialnovarstvenimi sistemi. Treba je obravnavati tudi dejstvo, da trenutna podatkovna zbirka terapevtskih strategij večinoma izhaja iz intenzivnih in kratkoročnih študij, ki se jih ne da zlahka prenesti v 'resnični svet', medtem ko potrebujemo izboljšana merila učinka, ki bolje odražajo stališča pacienta in negovalca. Tehnologije za pomoč pri vsakdanjem življenju lahko pomagajo izpolnjevati potrebe bolnikov z NB in njihovih negovalcev tako v zgodnji kot v srednji fazi bolezni, čeprav se je treba bolj posvetiti reševanju posebnih težav NB, kot pa osredotočanju na staranje na splošno. Nadaljnje raziskave so potrebne tudi za izboljšanje paliativne in obsmrtni nege, vanje pa naj bi skupaj z drugimi področji raziskovanja NB ustrezno vključili kompleksna etična vprašanja, povezana z ND.

Podporne dejavnosti

Za razvoj zgoraj opisanih znanstvenih tem bomo potrebovali številne horizontalne dejavnosti:

- **Poznavanje raziskovalnih sposobnosti:** Pregledali smo raziskovalne dejavnosti na nacionalni in evropski ravni, da bi opredelili vrzeli v raziskovanju in priložnosti, ki jih lahko izkoristimo z izboljšano koordinacijo in vlaganji. To predstavlja podlago javne zbirke podatkov, ki bo prikazala raziskave NB po Evropi, in spodbujala boljšo rabo sredstev in infrastrukture.
- **Podporna infrastruktura in podlage:** Pri prizadevanjih za ustvarjanje spodbudnega okolja za raziskovanje NB je treba spodbujati povezovanje in harmonizacijo podatkov in gradiva ter odprt dostop za njihovo uporabo. Spodbujati je treba standardizirane smernice, metode in orodja za zbiranje in analizo podatkov, da zadostimo zahtevam visokopretočnih tehnoloških platform in biobank ter bolje izkoristimo populacijske skupine (kohorte). Treba je spremeniti politiko na tem področju, da bomo omogočili raziskave v vseh strukturah zdravstvene nege, vključno s splošnimi bolnišnicami, osnovnim in skupnostnim varstvom.
- **Delovanje v sodelovanju z industrijo:** Z raziskovanjem NB se ukvarjajo mnoge različne gospodarske organizacije od farmacevtskega, diagnostičnega in biotehnološkega sektorja do ponudnikov pomoči pri vsakdanjem življenju in zdravstvenega varstva, vključno z dejavnostjo socialnovarstvenih zavodov. Povezovanje akademskega in gospodarskega področja je nujno za izvajanje novih pristopov k zdravljenju in varstvu. Spodbujati je treba tudi izmenjavo podatkov in sredstev med industrijo in akademskimi krogi.
- **Delo z upravnimi organizacijami:** Za spodbujanje učinkovitega prenosa raziskav v dobro bolnikov je potrebna vključenost in sodelovanje s ključnimi evropskimi in nacionalnimi upravnimi službami, ki omogočajo, da raziskovalci predpise zlahka razumejo in da so predpisi sorazmerni s tveganjem. Treba je spodbujati podporne upravne mreže, da dobimo dostop do navodil, ki usmerjajo zasnovane študij in odpravljajo mogoče zastoje v zgodnji fazi.
- **Mednarodno partnerstvo onkraj meja Evrope:** Znano je, da so neizpolnjene klinične potrebe in družbeni vpliv NB svetovni problem in da lahko nastanejo priložnosti povezovanja svetovnih raziskovalnih prizadevanj na tem področju. Takšno sodelovanje je treba strateško usmerjati in ciljem JPND ponuditi jasno dodano vrednost.
- **Krepitev zmogljivosti:** Določena področja raziskav nimajo potrebne zmogljivosti, zato jih je treba okrepiti. Skladno s tem je treba vzpostaviti interdisciplinarne mreže med disciplinami in raziskovalci, si prizadevati zlasti za spodbujanje kliničnih raziskovalcev in translacijskih specialistov in povečati število raziskovalcev NB z znanjem in izkušnjami iz ekonomije zdravstva, statistike, računalniške biologije in bioinformatike. Za razširitev odličnosti na

področju zdravstva in socialnega varstva po vsej Evropi lahko ustvarimo metodološke osi za pomoč razvoju študij in vrednotenju posegov, poti do storitev in varstva.

- **Izobraževanje in usposabljanje:** Svetovanje bolnikom z NB naj pri vseh poklicnih delavcih v zdravstvu in socialnem varstvu temelji na dobrem razumevanju motnje, potreb bolnika, značilnih za te bolezni, in dostopnih dokazanih možnostih zdravljenja. Klinični in raziskovalni programi izobraževanja in usposabljanja naj bodo prilagojeni tako, da spodbujajo in da si prizadevajo vnesti kulturo raziskovanja na celotno področje zdravstvenega in socialnega varstva. Poleg tega obstaja tudi potreba po spodbujanju obveščanja v javnem zdravstvu, ki prispeva k ublažitvi dejavnikov tveganja za NB, povezanih z nezdravim življenjskim slogom. Obveščanje v javnem zdravstvu mora biti podprto z raziskavami o tem, kako lahko najbolje spremenimo vedenje prebivalstva.
- **Povezave s snovalci politike:** JPND bo ponudil okvir za izpostavljanje pomembnih vprašanj, s katerimi se naj ukvarja nacionalna politika, ki naj spodbuja združljivost političnih pristopov v različnih državah. Treba se je lotiti dveh translacijskih vrzeli v politiki NB, prve pri uvajanju novih tehnologij ali praks na področju telemedicine, pomoči pri vsakdanjem življenju ali izvajanju storitev, in druge pri zagotavljanju, da se rezultati raziskav učinkovito uporabijo v politiki javnega zdravstva.
- **Komuniciranje in obveščanje:** Za uspešen prenos v politiko in prakso se mora raziskovalni program povezati in vključiti v različne sektorje. JPND bo zagotovil, da bodo vse zainteresirane skupnosti dobro obveščene o raziskavah NB in njihovih izsledkih, hkrati s povečano osveščenostjo in podporo raziskavam NB med odločevalci, bolniki, organizacijami bolnikov in negovalcev ter javnostjo. To bo prispevalo tudi k večji udeleženi v raziskavah in k zmanjšanju stigmatiziranosti zaradi NB.

3. Izvajanje raziskovalne strategije

Raziskovalna strategija ponuja nabor možnosti vsem državam, sodelujočim v JPND, ki želijo sodelovati pri skupnih aktivnostih, izvajanih s sodelovanjem v dejavnostih, ki usklajujejo ali povezujejo nacionalna vlaganja za večji učinek, in prek dodatnega financiranja. Vodilno načelo izvajanja bo, da morajo biti podprte raziskave najvišje znanstvene kakovosti.

4. Povzetek

JPND je pionirski primer 'skupnega programiranja', novega in prožnega pristopa, s katerim se lahko kompetentno lotimo velikega družbenega izziva, ki ga ne moremo rešiti samo z nacionalnimi programi. V tem dokumentu je opisana skupna vizija 24 sodelujočih evropskih držav in podan strateški pristop, ki podpira raziskovanje visoke kakovosti na svetovni ravni, s katerim lahko izkoristimo nastajajoče znanstvene priložnosti, se izognemo oviram pri napredku in ponudimo nove pristope k preventivi, posegom in varstvu. V priporočilih, zapisanih v raziskovalni strategiji, obravnavamo vse raziskave in pristope, potrebne za doseg učinka, in priznavamo pomembno vlogo drugih zainteresiranih skupin pri izvajanju tega programa. Končni cilj je sprožiti raziskave, ki lahko privedejo do novih ukrepov za izboljšanje zdravja in dobrega počutja bolnikov z NB, njihovih družin in negovalcev, in ki prinašajo gospodarske in družbene koristi po vsej Evropski uniji.