

JPND Research Strategy

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

Yönetici Özeti



JPND
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

1. Arka Plan ve Araştırma Stratejisinin Amacı

Nörodejeneratif (ND) hastalıklar yaşla birlikte gelen, hastayı zayıflatan ve büyük ölçüde tedavi edilemez hastalıklardır. Avrupa'da 7 milyon insanı etkileyen ve nüfusun yaşlanmasıyla 20 yıl içinde bu rakamın ikiye katlanması beklenen Alzheimer hastalığı ve ilgili bozuklukların en sorunlu kısmını demans (kişinin entelektüel ve sosyal yeteneklerinin, günlük fonksiyonlarını etkileyecek şekilde ilerleyici bir kaybı) oluşturmaktadır. Şu anda Avrupa'da demanslı hastaların tedavisi için 130 milyar Avro harcanmaktadır ve bu durum yaşa bağlı nörodejeneratif hastalıkların Avrupa toplumunun karşılaştığı tıbbi ve sosyal sorunların başında geldiğinin altını çizmektedir.

AB Ortak Programı - Nörodejeneratif Hastalık Araştırmaları (JPND) ND hastalıklar dolayısıyla ortaya çıkan sorunlarla mücadele etmek için kurulmuş yenilikçi, ortak araştırma inisiyatiftir. İnisiyatifin amacı ortak aksiyon ile fayda sağlanacak ortak hedefler belirlemek ve var olan ulusal programların eşgüdümü ile araştırmaların etkilerini artırmaktır. Bu araştırma stratejisi gelecekteki yatırımlar için bir çerçeve çizecek ve Avrupa'daki araştırma çabalarını, önleme, teşhis, tedavi ve bakım açısından en verimli düzeyde nasıl tutulacağını bildirecektir.

2. Bilimsel Öncelikler ve Kolaylaştırıcı Faaliyetler

Bilimsel Öncelikler

Beklenen etkiye ulaşabilmek için yeniliğin de çok disiplinli yaklaşımlar kadar teşvik edilmesi ve temel araştırma, klinik araştırma, sosyal araştırmalar ve çevrimsel araştırmalarda var olan yeteneklerin güçlendirilmesi gerekmektedir:

- Nörodejeneratif Hastalıkların Kökeni:** Spesifik ND hastalıkların nedenleri, insanların risk ve dirençliliğini belirleyen faktörler ve hastalığı tetikleyen olaylar hakkında daha fazla bilgiye ihtiyaç duyulmaktadır. Risk altındaki popülasyonların karakterizasyonu, önleme stratejileri hakkında da bilgi vermelidir ve bu durum ND hastalıklar için yeni genetik, epigenetik ve çevresel risk faktörlerini ve bunların etkileşimlerini ortaya koyacak araştırmalar gerektirmektedir. Bununla birlikte, normal yaşlanma sürecini ve bu sürecin ND hastalıkların gelişmesi ve ilerlemesiyle ilişkisini daha iyi anlamak gerekir. Bu süreçlerin çevresel ve davranışsal modülatörlerinin saptanması, korunmayı belirleyen faktörlerin içyüzünü anlamayı sağlayacaktır.
- Hastalık mekanizmaları ve modelleri:** Hastalığa müdahale için uygun zaman penceresi belirlenmesi ile birlikte yeni tanısal ve tedavi edici yaklaşımlar geliştirmeyi desteklemek için hastalığın temelinde yatan mekanizmaların bütünsel biçimde anlaşılmasına ihtiyaç duyulmaktadır. İzlenmekte olan çoklu yaklaşımların yanı sıra hastalık süreçlerinin kilit unsurlarını temsil eden ve ND hastalığın ilerleme şekli, komorbidite, cinsiyet ve yaşlanma gibi faktörleri göz önünde bulunduran yeni, hücre tabanlı modellere ve hayvan modellerine ihtiyaç duyulmaktadır. ND hastalıklarda davranışsal ve fizyolojik belirtilerin biyolojik ve çevresel nedenlerini açıklığa kavuşturmak için çalışmalar gerekmektedir.
- Hastalık tanıları ve teşhis koyma:** Standart klinik değerlendirmeler ortak ND hastalıkların öngörülen karmaşık yapısını yakalamakta başarısız olmakta, rafine etmeye ihtiyaç duymakta ve mevcut teşhis kriterlerinin güncellenmesini gerektirmektedir. Farklı form ve alt tipteki ND hastalıkların daha iyi tanımlanmasına ve daha erken ve kesin sonuç veren yeni ve gelişmiş teşhis araçlarına ihtiyaç duyulmaktadır. Araçların ve değerlendirmelerin standardizasyonu ve uyumlaştırılması, sonuçların ve çalışmaların karşılaştırılabilirliği için kritik önem taşımaktadır.

- **Tedaviler ve Önleme:** Hayvan modelleri, hücre kültürü çalışmaları ve hastalarla yapılan klinik çalışmalar arasında çok yönlü bağlantılar kurarak, yeni hedefler belirlenmesi ve yeni ilaçlar geliştirilmesi konularında ilerlemeler arttırılmalıdır. Bu gelişmeler dahilinde yeni tedavi yöntemleri için kullanılacak olan klinik araştırmalarda denek seçimi ve klinik araştırma kalitesinin ve güvenliğinin arttırılması konusunda da iyileştirmeye yönelik çalışmalar yapılmalıdır. Psikososyal müdahaleler, hasta bakımı ve sosyal gelişim gibi konular çalışmalar kapsamında teşvik edilmeli, klinik öncesi çalışmalarda hasta kohortlarının oluşturulması, yeni testlerin geliştirilmesi, hastalığın önlenmesi ya da yavaşlatılmasına yönelik yaklaşımlar etkin olarak kullanılmalıdır. Son olarak, uzun vadeli yaklaşımlar ile rejeneratif stratejilerin teşvik edilmesi ve beyin ve sinir sisteminde belirli bölgeler için yeni ilaç dağıtım sistemleri geliştirilmesi konuları da çalışmalar kapsamında önem taşımaktadır.
- **Sağlık ve sosyal bakım:** Şu anda Avrupa ülkelerinde bireysel sağlık ve sosyal bakım sistemleri arasında verimsiz bir koordinasyon bulunmaktadır. ND hastalıkları konusunda özellikle; öz kaynaklara erişim, maliyet-etkinlik analizi, tanı-tedavi ve hasta bakımı konularında Avrupa'da bir koordinasyonun yapılabilmesi için destek gerekmektedir. Avrupa'da sakatlık ve sağlıkla ilgili ND hastalarının yaşam kalitesinin nasıl etkilendiğini anlamaya yönelik kritik faktörlerin belirlenmesine ihtiyaç duyulmaktadır. Özellikle komorbidite, beslenme, aile içi ilişkiler, hasta bakımı, çevre, sağlık ve sosyal bakım sistemlerinin yaşam kalitesine etkileri araştırılması gereken konular arasında yer almaktadır. Günümüze kadar uygulanan tedavi stratejilerinin yoğun ve kısa vadeli çalışmalar sonucunda üretilmiş olduğunu ve gerçek hayata kolayca uyarlanamadığını çalışmalarda göz önünde bulundurmak gerekmektedir ayrıca yapılacak olan çalışmalar hasta ve hasta bakıcı bakış açılarını en iyi şekilde yansıtmalıdır. Yaşlanma odaklı ND hastalıklarının araştırılması konuları çok fazla önem teşkil ediyor olsa da, destekleyici yaşam teknolojileri (Assisted living technologies) ve bu konuda yapılacak çalışmalar ND hastalarının ve hasta bakıcılarının ihtiyaçlarını karşılamak için kullanılabilir. Geçici hasta bakımı ve yaşam boyu hasta bakımı konularında bilgilendirme amaçlı araştırma projelerine yer verilmesi gerektiği gibi, yapılacak araştırmalarda etik konulara uygunluk kriterine de gerekli hassasiyet gösterilmelidir.

Kolaylaştırıcı Etkinlikler

Yukarıda özetlenen bilimsel temaların ilerleyebilmesi için bir grup kesişen faaliyete ihtiyaç duyulmaktadır:

- **Araştırma yeteneğini bilmek:** Ulusal ve Avrupa düzeyinde ND hastalıklarla ilgili araştırma faaliyetleri incelenmektedir ve daha iyi eşgüdüm ve yatırım ile hedeflenecek araştırma boşlukları ve fırsatları belirlenmektedir. Böylece Avrupa çapında devam etmekte olan ND hastalıklarla ilgili araştırma veritabanı için bir temel oluşturulmakta ve kaynakların ve altyapıların daha iyi tanıtımı sağlanmaktadır.
- **Destekleyici altyapı ve platformlar:** ND hastalık araştırmaları için kolaylaştırıcı bir çevre yaratmak amacıyla, veri ve malzemelerin bütünleştirilmesi ve uyumlaştırılması ve bunların kullanımı için açık erişim yaklaşımının teşvik edilmesi gerekmektedir. Veri toplamak ve analiz etmek için örneğin yüksek verimli (high-throughput) teknoloji platformlarının ve biyobankaların gereksinimlerini hedeflemek ve popülasyon kohortlarından daha iyi faydalanmak için standart kılavuzlar, metotlar ve araçlar teşvik edilmelidir. Politika çerçevesi yeniden gözden geçirilerek sağlık hizmetleriyle ilgili araştırmalar kolaylaştırılmalıdır.
- **Sanayi ile işbirliği içinde çalışmak:** İlaç, teşhis ve biyoteknoloji sektöründen sağlık hizmetleri ve evde bakım endüstrisine ND hastalık araştırmalarına dahil olan birçok farklı ticari kuruluş bulunmaktadır. Tedavi ve bakımda yeni yaklaşımlar geliştirmek için sanayi ve akademinin işbirliği vazgeçilmezdir. Sanayi ile akademinin veri ve kaynak değişimi teşvik edilmelidir.

- **Düzenleyici kuruluşlarla çalışma:** Araştırma sonuçlarının hasta faydası için kullanılabilmesi için kilit Avrupa ve ulusal düzenleyici kuruluşların işbirliği yapması gerekir. Bu sayede düzenlemelerin araştırmacılar tarafından daha iyi anlaşılması ve riskin dağılması sağlanır. Olası darboğazları erken safhada belirleyecek ve çalışma tasarımı hakkında bilgilendirecek bir kılavuza erişim sağlayacak düzenleyici destek ağları teşvik edilmelidir.
- **Avrupa'nın ötesinde uluslararası işbirlikleri:** ND hastalıkların sosyal etkileri ve karşılanmamış klinik ihtiyaçlar küresel bir konudur ve fırsatlar dünya çapındaki araştırma çabalarının sonucu olarak ortaya çıkabilir. Uluslararası işbirliği stratejik olarak yönetilmelidir ve bu durum JPND'nin faaliyetlerine katma değer ekleyecektir.
- **Kapasite geliştirme:** Bazı araştırma alanlarında eksiklikler bulunmaktadır ve güçlendirilmeye ihtiyaç duyulmaktadır. Buna paralel olarak araştırmacılar ve farklı disiplinler arası işbirliği ağları kurulurken; klinik araştırmacıların ve çevrimsel araştırmalar konusunda çalışan araştırmacıların desteklenmesi, sağlık ekonomisi, istatistik, komputasyonel biyoloji ve biyoenformatik alanlarında deneyimli ND hastalık araştırmacılarının sayısının artırılması için özel çaba sarf edilmesi gerekmektedir. Bu amaçla, Avrupa çapında sağlık hizmetleri ve sosyal bakım alanlarında mükemmeliyeti sağlamak, metodolojik merkezler oluşturarak gelişmeleri izlemek ve değerlendirmek gerekmektedir.
- **Eğitim ve öğretim:** ND hastalara, sağlıktan sosyal bakıma kadar profesyonel olarak verilen tavsiyeler, hastalıkların, hasta ihtiyaçlarının ve kanıta dayalı tedavilerin iyi anlaşılmasına dayandırılmalıdır. Klinik eğitim, araştırma eğitimi ve programları bunu özendirmek için tasarlanmalı ve araştırma kültürü sağlık ve sosyal bakımın tüm aşamalarına eklenmelidir. Bunun yanında sağlıksız yaşam şeklinin sonucu olarak ortaya çıkan ND hastalıklara ilişkin risk faktörleri halk sağlığı söylemlerinin içine yerleştirilmelidir. Popülasyon düzeyinde etkin davranış değişikliği yaratabilmek için halk sağlığı söylemleri araştırmalar ile desteklenmelidir.
- **Politika belirleyicilerle irtibat:** JPND ulusal politika değerlendirmeleri için önemli konuları ön plana çıkaracak bir çerçeve ortaya koymaktadır. ND hastalıklar politikasında eksik olan 2 hususun hedef alınması gerekmektedir. Bunlardan ilki, örneğin teletıp, hizmetlerde yardımcı yaşam tesisi gibi yeni teknoloji ve pratiklerin uygulanması, diğeri ise, araştırma çıktılarının halk sağlığı politikalarında verimli biçimde uygulanmasıdır.
- **İletişim ve ötesi:** Araştırmanın verimli bir biçimde politika ve pratiğe yansımaları için araştırma gündeminin farklı birçok sektörle iç içe olması gerekmektedir. JPND tüm paydaş topluluklarının yürümekte olan ND hastalık araştırmaları ve bu araştırmaların sonuçlarıyla ilgili bilgilendirilmiş olmalarını, farkındalığı artırmayı ve karar alıcılar, hastalar, hasta ve bakım organizasyonları arasında ve kamuda ND hastalık araştırmalarına olan desteği artırmayı hedeflemektedir.

3. Araştırma Stratejinin Dağıtımı

Araştırma Stratejisi, JPND üye ülkeleri ve ortak aksiyonlara katılmak isteyen ülkeler için önemli fırsatlar sunmaktadır. Araştırma Stratejisinin dağıtımındaki temel prensip, yüksek bilimsel kaliteye sahip araştırmaların desteklenmesidir.

4. Özet

"Ortak Programlama"nın öncü bir örneği olan JPND, tek başına ulusal programlarla çözülemeyecek büyük sosyal sorunları çözme yeteneğine sahip yeni ve esnek bir yaklaşımdır. Bu doküman, katılımcı 24 Avrupa ülkesinin ortak vizyonunu ve bununla birlikte; yeni beliren fırsatlardan faydalanan, ilerlemenin önündeki engellere karşı duran ve önleme, müdahale ve bakım konularına yeni yaklaşımlar getiren dünya çapındaki araştırmaları destekleyen stratejik bir yaklaşımı ortaya koymaktadır. Nihai amaç, ND hastaların ve ailelerinin sağlık ve refahını geliştirecek yeni müdahaleleri ortaya koyan ve AB'nin ekonomik ve sosyal faydasını sağlayan araştırmaların üstlenilmesidir.