

Leidraad voor Interactie patiëntenorganisaties met farmaceutische bedrijven *Rol van patiëntenorganisaties in medicijnontwikkeling*

Versie mei 2019

1. Inleiding

Het is belangrijk dat er betere medicijnen komen en dat er medicijnen komen voor aandoeningen waarvoor er nu nog geen zijn. Patiëntenorganisaties kunnen hierbij een belangrijke rol spelen. Er is een behoefte aan meer patiëntenparticipatie in het ontwikkelingsproces van medicijnen, zowel bij de patiëntenorganisaties als bij farmaceutische bedrijven.

Deze leidraad is bedoeld voor patiëntenorganisaties die actief bijdragen aan medicijnontwikkeling.

Deze leidraad is op verzoek van en in samenwerking met leden¹ van Patiëntenfederatie Nederland tot stand gekomen en is op 22 mei 2019 besproken door de Algemene Leden Vergadering van Patiëntenfederatie Nederland. Het is een levend document. Na een jaar wordt deze bekeken en waar nodig aangepast. Hierna zal deze leidraad 2 jaarlijks worden bekeken en herzien worden. Deze leidraad dient in samenhang met bestaande (Europese) leidraden, wet- en regelgeving en de gedragscode Sponsoring/fondsenwerving van Patiëntenfederatie Nederland gezien te worden².

2. Het belang van patiëntenparticipatie en de noodzaak van een leidraad

Het belang van patiëntenparticipatie bij medicijnontwikkeling is dat medicijnen naar de wensen en voorkeuren van patiënten ontwikkeld worden. En er therapeutische meerwaarde is en dat betere medicijnen sneller bij de patiënt terecht komen. Patiëntenfederatie en haar leden zijn van mening dat patiëntenparticipatie het beste ingevuld kan worden door patiëntenorganisaties.

Zij zouden actief betrokken moeten zijn in alle fasen van medicijnontwikkeling, niet alleen bij de klinische ontwikkelingsfasen. In dat proces moeten ze wel onafhankelijk van bedrijven/onderzoekers kunnen opereren. Dat vraagt om een lange adem, expertise en een helder kader van wat kan en niet kan.

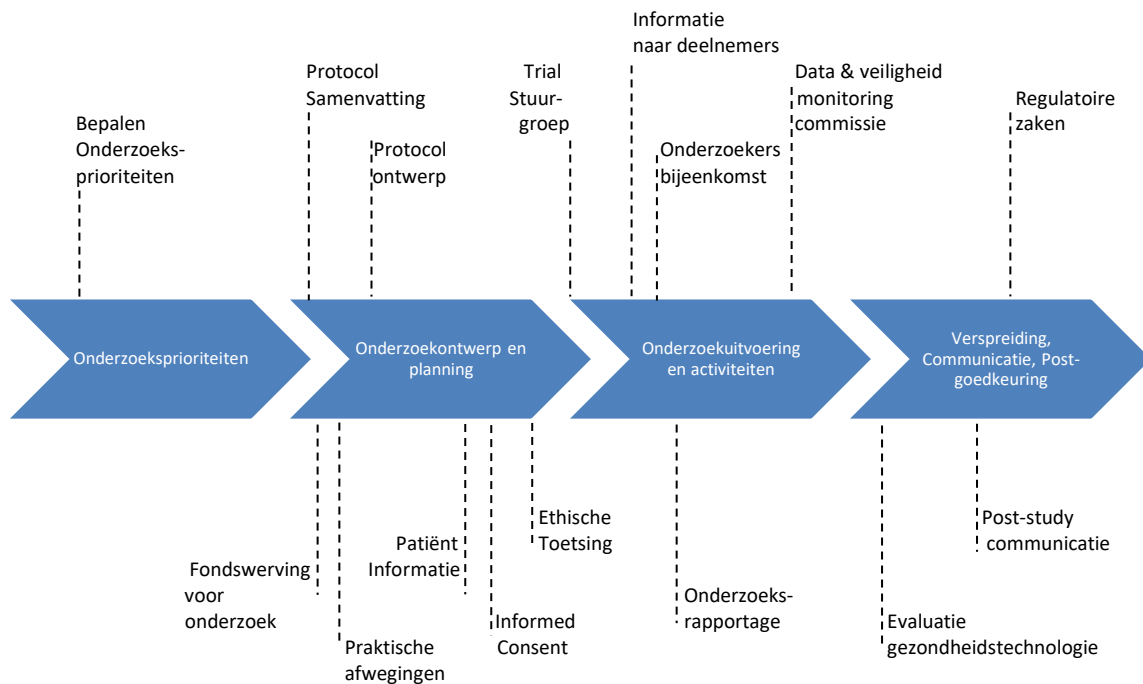
Deze leidraad beoogt een handreiking te geven dat een kader schetst voor patiëntenparticipatie en concrete suggesties geeft voor de invulling.

3. Fasen in medicijnontwikkeling

In onderstaand overzicht zijn de momenten in het proces aangegeven waar patiëntenorganisaties invloed kunnen uitoefenen. Zie bijlage voor een uitgebreidere Engelse versie.

¹ Spierziekten Nederland, VSOP, ReumazorgNederland

² <https://www.patiëntenfederatie.nl/images/stories/dossier/Organisatie/GedragscodeFondsenwerving2018.pdf>



Figuur 1

4. Mogelijke rollen voor patiënten

Er zijn voor patiënten in dit proces verschillende rollen mogelijk:

- Een *patiëntenorganisatie* kan samenwerking met bedrijven/onderzoekers tot stand brengen en afspraken maken over transparantie en continuïteit. Samenwerking kan in verschillende fasen plaatsvinden en elke fase kent zijn eigen dynamiek. Samenwerking bestaat soms uit meedenken en soms is het nodig scherper aan belangenbehartiging te doen. Dat vraagt gedurende het proces telkens weer een besluit.
- *Patiëntvertegenwoordigers* zitten namens een patiëntenorganisatie aan tafel. Zij begrijpen goed wat hun 'opdracht' is en committeren zich voor langere tijd aan de samenwerking. Zij werken binnen de gemaakte afspraken met de patiëntenorganisatie.
- *Ervaringsdeskundigen* (mensen die zelf de aandoening hebben) kunnen vanuit hun eigen situatie aangeven waar ze behoefte aan hebben en wat zij belangrijk vinden voor hun kwaliteit van zorg en leven. Zij kunnen ook deelnemer (proefpersoon) zijn in het onderzoek. Deze groep (rol) valt buiten de scope van deze leidraad.

5. Waarden vanuit het patiëntenperspectief

Patiëntenparticipatie bij medicijnontwikkeling mag niet vrijblijvend zijn. Ook moeten patiëntvertegenwoordigers onafhankelijk van bedrijven en onderzoekers kunnen opereren. Het is belangrijk dat dergelijke waarden door de samenwerkingspartij onderschreven worden, bij voorkeur in een samenwerkingsovereenkomst.

Mogelijke waarden:

- **Relevantie:** gebruik van de kennis en ervaring van patiënten leidt tot betere resultaten;
- **Eerlijkheid:** patiënten hebben dezelfde rechten om bij te dragen aan medicijnontwikkeling als andere betrokkenen.
- **Onafhankelijkheid:** patiëntvertegenwoordigers die op formele wijze betrokken zijn het proces van medicijnontwikkeling, zijn onafhankelijk van de partij waarmee zij samenwerken, en vormen hun mening vanuit het patiëntenperspectief. Professionele en ethische codes dienen gevolgd te worden en van promotie³ mag absoluut geen sprake zijn.

³ Promotie is het onder de aandacht brengen van een nieuw of bestaand product, of service met als doel de omzet positief te beïnvloeden.

- Transparantie: patiëntvertegenwoordigers die op formele wijze betrokken zijn bij medicijnontwikkeling, leggen hierover verantwoording af. De wijze van samenwerking wordt vooraf in een overeenkomst vastgelegd.

6. Samenwerkingsovereenkomst

De volgende zaken dienen voorafgaande aan de start van de samenwerking schriftelijk vastgelegd te worden in een samenwerkingsovereenkomst, waarbij relevante wet- en regelgeving in acht wordt genomen:

- het doel en resultaat van de samenwerking;
- waarden vanuit patiëntperspectief (zie paragraaf 5);
- de specifieke activiteiten van patiëntvertegenwoordigers, inclusief de verschillende rollen;
- start en einde van de samenwerking;
- afspraken over communicatie;
- vergoeding, reis- en verblijfkosten en verzekeringen;
- vertrouwelijkheid en geheimhouding.

7. De patiëntvertegenwoordigers

De patiëntenorganisatie die gaat meedoen in medicijnontwikkeling moet zorgen dat er in alle fasen de juiste patiëntvertegenwoordigers deelnemen. Ook is ze verantwoordelijk voor begeleiding en training van haar vertegenwoordigers.

Patiëntvertegenwoordigers die gaan participeren moeten aan eisen voldoen:

- relevante ervaring (bijv. ervaring met gerandomiseerde klinisch onderzoeken, processen van evaluatie van gezondheid technologieën, onderzoeksagenda's ontwikkelen);
- relevante kennis (bv door deelname aan EUPATI of EURORDIS Summerschool) en/of de bereidheid gepaste training te volgen;
- de EMA "declaration of interest" principes begrijpen⁴;
- gedurende langere tijd beschikbaar (circa twee tot vier jaar);

8. Overige eisen aan bedrijven en onderzoekers bij medicijnontwikkeling

Aan de samenwerking tussen patiëntenorganisaties en farmaceutische bedrijven, liggen heldere waarden en uitgangspunten ten grondslag.

Naast afspraken over patiëntenparticipatie zouden patiëntenorganisaties ook meer algemene afspraken kunnen maken, zoals over open science en andere FAIR principes (FAIR staat voor Findable, Accesible, Interoperable en Reusable, oftewel: vindbaar, toegankelijk, interoperabel en herbruikbaar en duurzaam opgeslagen). Deze beweging stelt tot doel dat alle gegenereerde data toegankelijk zijn voor wetenschap, maatschappij en economie. Uitgangspunt is samenwerking en kennisuitwisseling⁵. Ook patiëntenorganisaties kunnen een rol spelen in het verzamelen en beheren van gegevens, de PGO's en registers van patiëntenorganisaties kunnen hier van toepassing zijn. Patiëntenfederatie Nederland zal een format ontwikkelen dat patiëntenorganisaties kunnen gebruiken voorafspraken rondom FAIR principes.

⁴ Door een samenwerking aan te gaan met een farmaceutisch bedrijf, kan een individu geen werkzaamheden uitvoeren voor de EMA. Europese (patiënt) experts moeten jaarlijks een verklaring invullen of zij een belang hebben met de industrie. Dit moet wel bekend zijn bij de patiëntvertegenwoordigers en de organisaties. Voor meer informatie: <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/european-medicines-regulatory-network/european-experts>

⁵ Nederland heeft op Europees niveau hierover afspraken gemaakt: <https://www.zonmw.nl/nl/over-zonmw/open-science-fair-data/>. Hier is meer informatie te vinden of FAIR principes: <https://www.zonmw.nl/nl/over-zonmw/toegang-tot-data/fair-data/>

Bijlage

Checklist

Deze checklist kan gebruikt worden bij het aangaan van een samenwerkingsverband voor medicijnontwikkeling.

Items	Ja/Nee
Is continuïteit voldoende geborgen?	
Is het doel en resultaat van de samenwerking helder omschreven?	
Zijn de activiteiten helder beschreven?	
Is het profiel van de betrokken patiëntvertegenwoordiger helder beschreven?	
Hebben de mogelijke medewerkers/betrokkenen de benodigde kennis en/of ervaring?	
Zijn de waarden vanuit het patiëntenperspectief benoemd?	
Is het tijdsbestek van de samenwerking helder?	
Is aan de grondslagen van Open Access en FAIR principles invulling gegeven?	
Zijn de communicatieafspraken rondom de samenwerking vastgesteld en is er een contactpersoon?	
Zijn de principes van de EMA in zake belangenverstremgeling bekend?	
Zijn de verklaringen van vertrouwelijkheid en geheimhouding ondertekend?	
Zijn de financiële zaken helder: duidelijke vergoedingen naar billijkheid, reis en verblijfkosten voorzien, verzekeringen afgesloten?	

Onderstaand figuur is de uitgebreide versie van figuur 1 gebruikt in paragraaf 3.

Patient involvement in medicines R&D

