

## ОРГАНИЗАЦИИ ПАЦИЕНТОВ С РЕДКИМИ НЕРВНОМЫШЕЧНЫМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ – РОЛЬ В СОЗДАНИИ РЕЕСТРОВ И УЧАСТИИ В КЛИНИЧЕСКИХ ИССЛЕДОВАНИЯХ

*В. Матюшенко,*

*Президент Фонда “Дети СМА”*

*А. Шатилло*

*ГУ НИИ неврологии, психиатрии и наркологии*

*АМН Украины*



**Дети со спинальной мышечной атрофией**

*Благотворительный Фонд*

# Понятие редкости заболевания

- частота менее 1 из 2000  
Одобрено Правилами (ЕС)  
141/2000
- В Украине нет и самого определения "редких заболеваний". Не существует лечения для 6000-8000 РЗ, 75% которых затрагивают пациентов детского возраста
- СМА – редкое генетическое заболевание, поражающее каждого из 6000 новорожденных. Каждый 40 носитель гена, вызывающего СМА, которая затрагивает, невзирая на пол, национальность и возраст

# **Барьеры перед пациентами с редкими нервномышечными заболеваниями, препятствующие участию в клинических испытаниях в Украине**

- Отсутствие для большинства редких заболеваний современных реестров
- Отсутствие реестра медицинских учреждений, проводящих клинические испытания

## Реестры

**TREAT-NMD (Newcastle University, UK)**

**Фрайбург (University of Freiburg, Germany)**

- международный реестр пациентов со СМА и Мышечной Дистрофией Дюшенна





Orphanet Report Series

UA - UKRAINE (1 registry)		
ENGLISH LABEL OF THE ACTIVITY	COVERAGE	INSTITUTION
Spinal muscular atrophy patient registry in Ukraine - part of the TREAT-NMD network	National	Academic

US - UNITED STATES (6 registries)		
ENGLISH LABEL OF THE ACTIVITY	COVERAGE	INSTITUTION
CMDIR: congenital muscular dystrophy international registry	Global	Academic
International Friedreich Ataxia Research Alliance (FARA) registry	Global	Patient organisation
International Morquio A registry	Global	Patient organisation
International Rare Genetic Steroid Disorders Consortium (RGSDC) registry	Global	Academic
International registry for primary hyperoxaluria	Global	Academic
THAOS: transthyretin amyloidosis outcomes survey	Global	Private company



Дети со спинальной мышечной атрофией

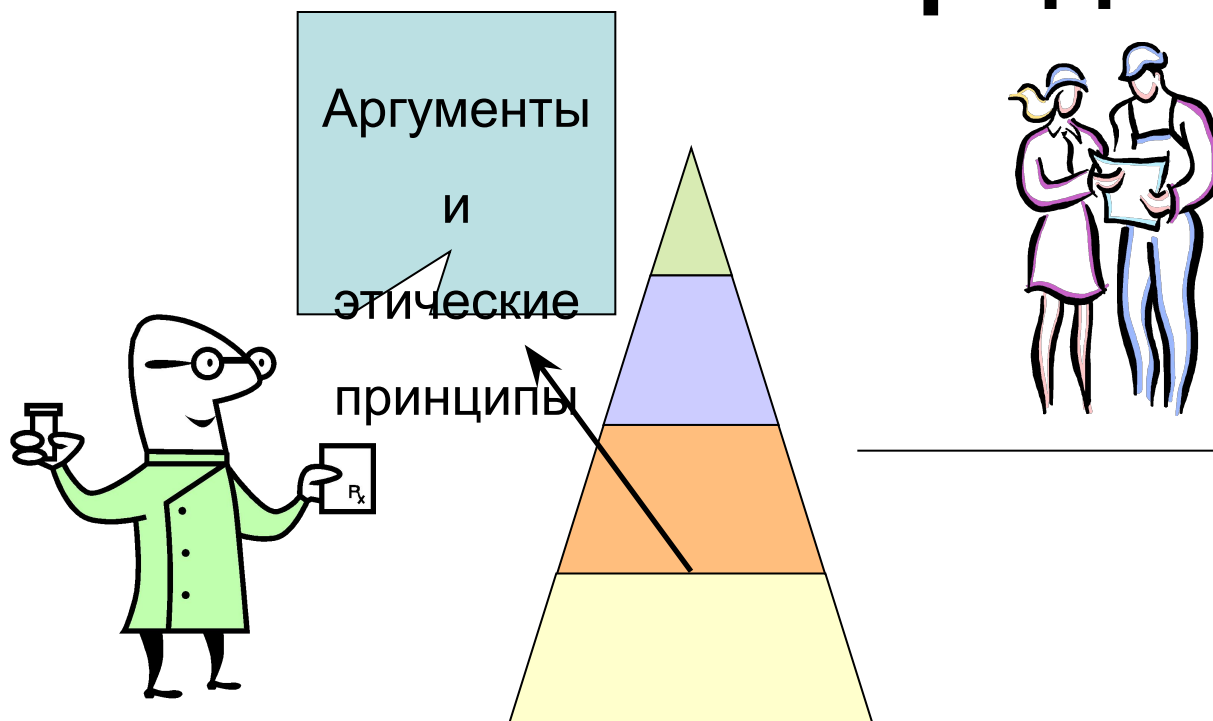
Благотворительный Фонд

# Роль Организации пациентов

- Сбор, систематизация и хранение информации
- Разъяснение Родителям (опекунам) вопросов о клинических испытаниях с участием детей

# Этический аспект ответственности родителей

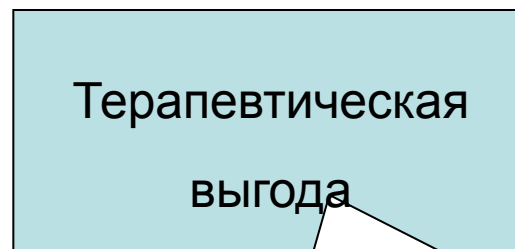
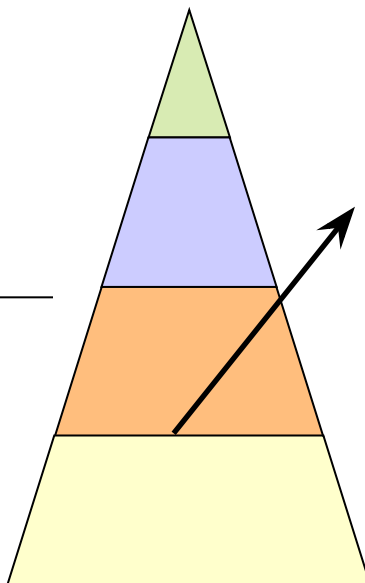
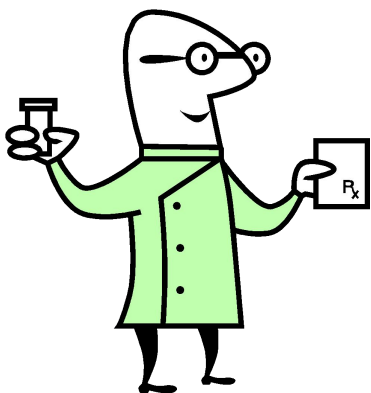
# Этический аспект ответственности родителей



ETHICAL CONSIDERATIONS FOR CLINICAL TRIALS ON MEDICINAL PRODUCTS WITH  
THE PAEDIATRIC POPULATION



# Этический аспект ответственности родителей

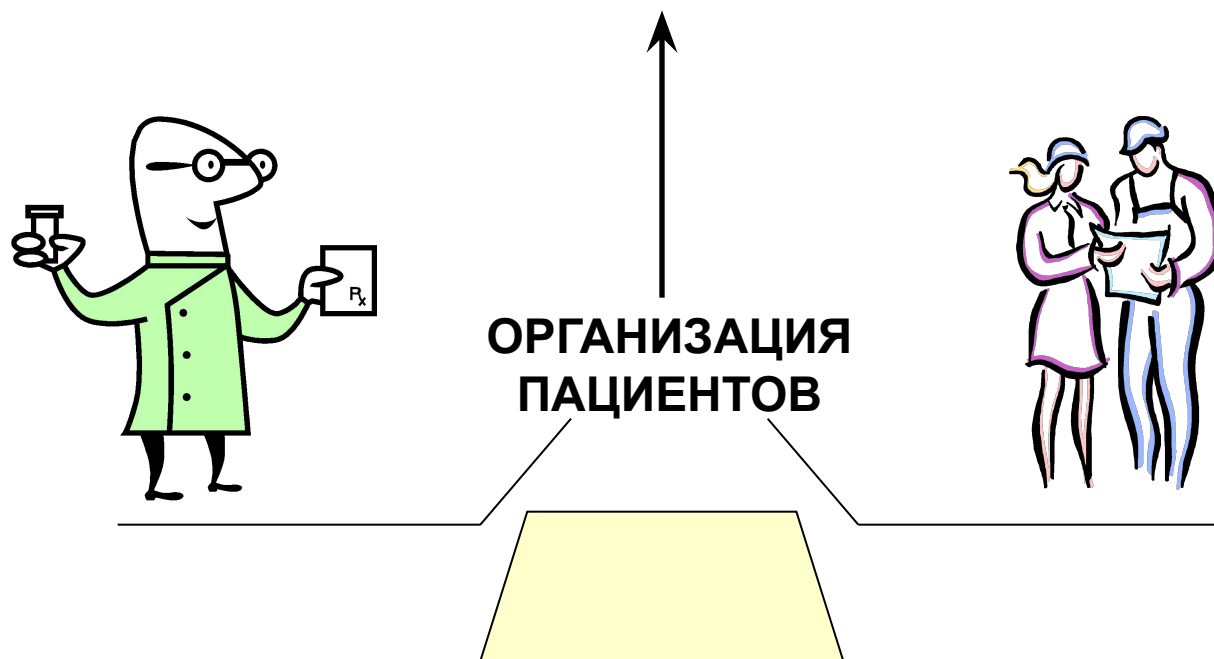


и надежда



ETHICAL CONSIDERATIONS FOR CLINICAL TRIALS ON MEDICINAL PRODUCTS WITH  
THE PAEDIATRIC POPULATION

# Этический аспект ответственности родителей



ETHICAL CONSIDERATIONS FOR CLINICAL TRIALS ON MEDICINAL PRODUCTS WITH  
THE PAEDIATRIC POPULATION

# Участие в международных проектах

- Какова роль организации пациентов в клинических испытаниях?
- Какими знаниями должны обладать организации пациентов, чтобы выполнять новую для них роль?
- Что организаторы клинических испытаний и организации пациентов должны знать друг о друге, чтобы быть в состоянии сотрудничать в клинических испытаниях?
- Какие действия необходимо планировать, чтобы облегчить сотрудничество в клинических испытаниях?

[www.patientpartner-europe.eu](http://www.patientpartner-europe.eu)

# Взаимодействие с медицинскими и научно-исследовательскими учреждениями

Анализ и систематизация собранных  
данных в пределах организации  
пациентов,

*как результат ....*

# Взаимодействие с медицинскими и научно-исследовательскими учреждениями

- Сокращение времени набора пациентов для планируемых клинических испытаний
- Информация из качественного реестра пригодна для новых исследований

# Организация пациентов в клинических испытаниях

получает:

Возможность влияния на формирование  
протоколов клинических испытаний

дает:

Выгоды для организаторов клинических  
испытаний

# Перспектива сотрудничества организаторов клинических испытаний с организациями пациентов

Финансирование и информация

Информация и Финансирование

зеркальные факторы, которые  
должны использоваться в  
привлечении организаций пациентов  
и в их поддержке



# Благодарю за внимание

Деятельность Фонда "Дети СМА»  
осуществляется при поддержке



**Дети со спинальной мышечной атрофией**

*Благотворительный Фонд*