



Ontwikkeling van geneesmiddelen en
de rol van het Duchenne Parent Project

Elizabeth Vroom, Archeon, 21 Juni 2014



Patiëntenorganisaties

Universiteiten

Industrie

Overheid EU en NL

Van idee tot patiënt

Fundamenteel onderzoek

Klinische testen

Markt toelating

Vergoeding/Toegang



Fundamenteel onderzoek

Interesse

Geld/Sponsoring

Strenge Selectie Projecten

Uitwisseling van informatie

Internationale samenwerking



Bridge the 'Valley of Death'

Interesse/Awareness

Partijen bij elkaar brengen

Sponsoring

'Druk op de ketel'



Klinisch onderzoek

Trial Design

Selectie van Centra

Recruitement

Samenwerking met Industrie

Wetgeving

Ethiek





'Zeldzame ziekte' betekent vaak

Geen Standard of Care

Geen registratie

Geringe belangstelling artsen

Geen uitkomstmaten

Geen kennis bij regelgevers

Trial Design

Uitkomstmaten

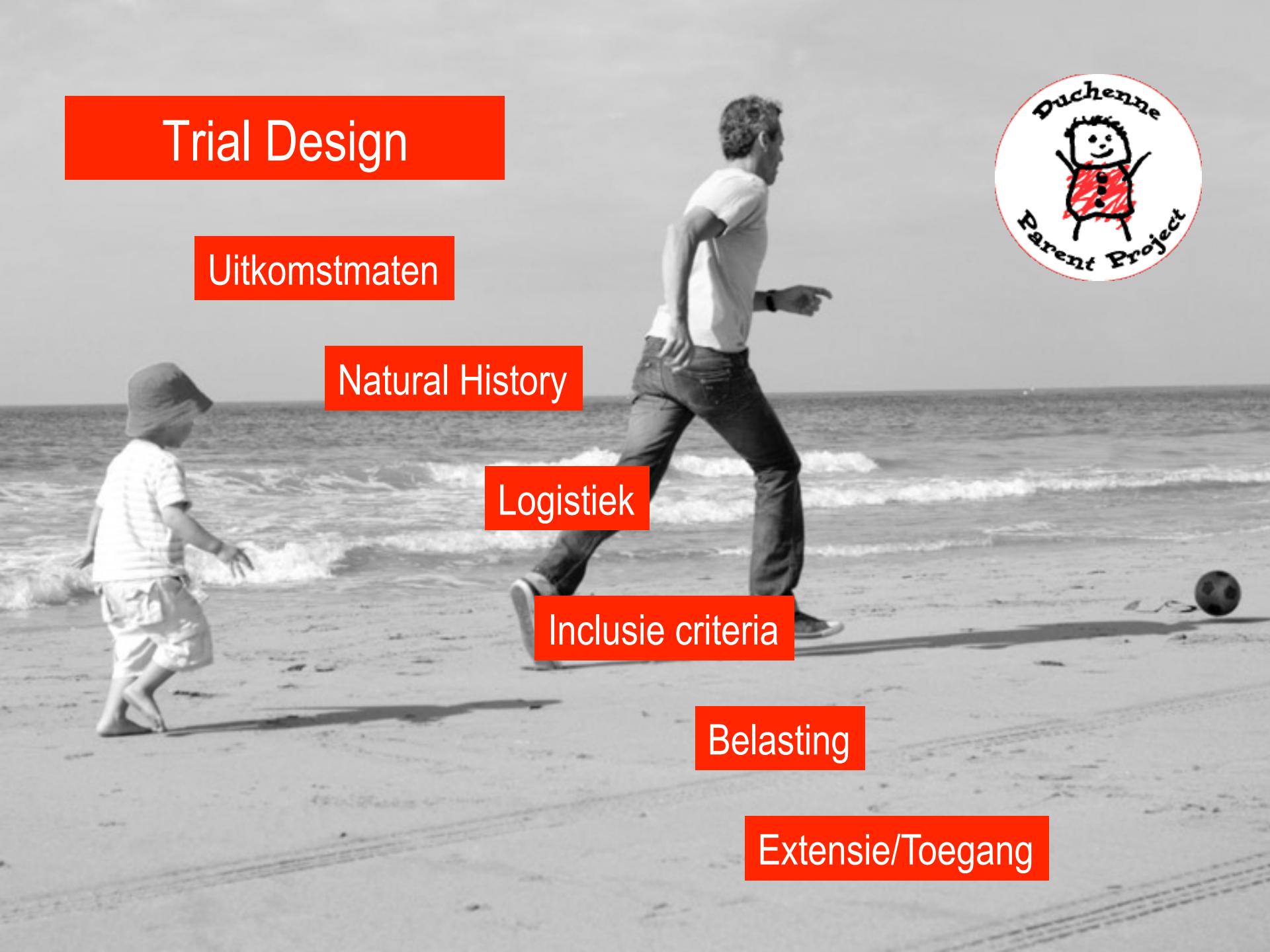
Natural History

Logistiek

Inclusie criteria

Belasting

Extensie/Toegang



Uitkomstmaten

'Clinically meaningful'

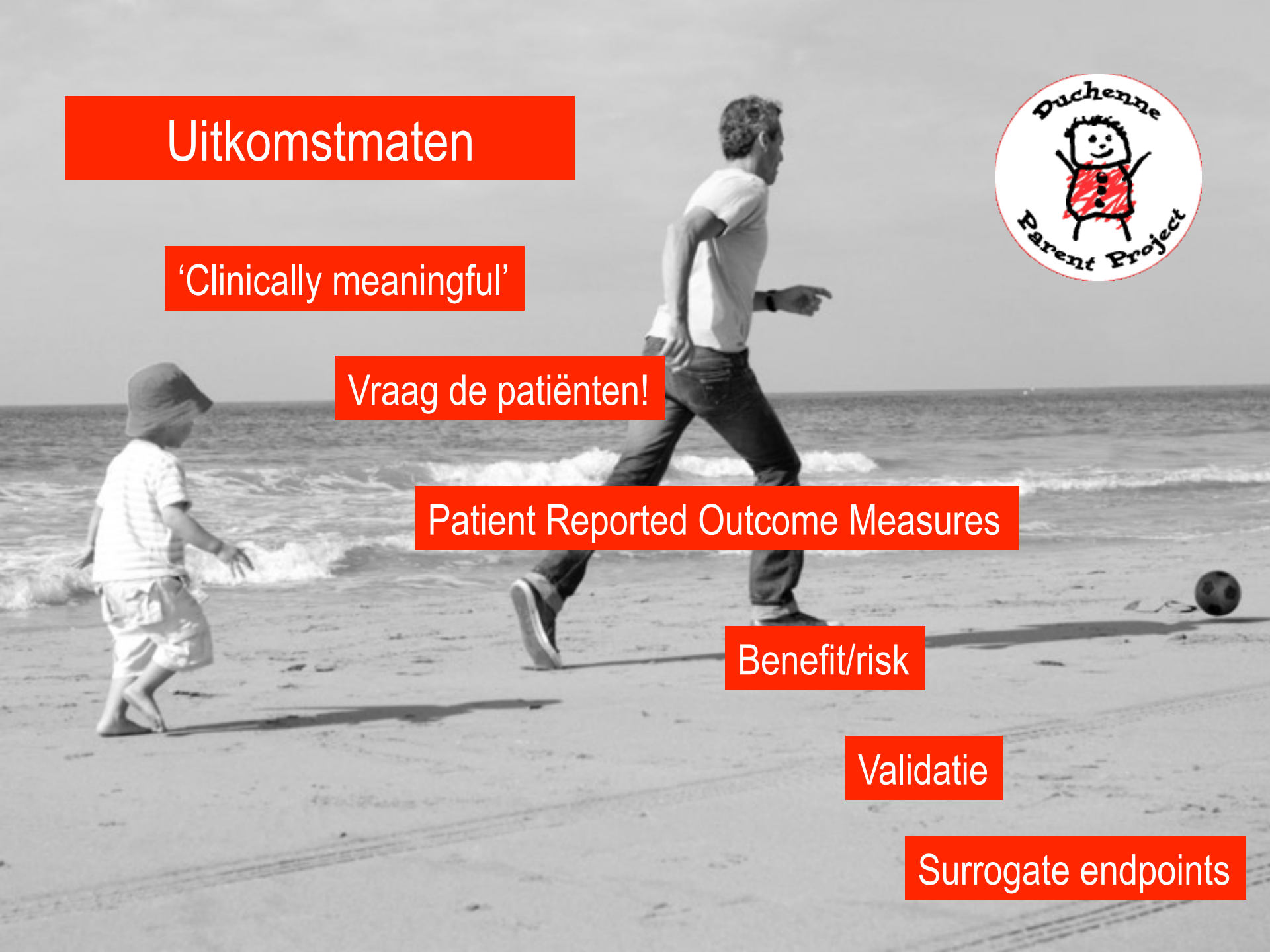
Vraag de patiënten!

Patient Reported Outcome Measures

Benefit/risk

Validatie

Surrogate endpoints



Inclusie criteria



Conflict met andere trials

'Broad label'

Standards of Care



Markt toelating

EMA/FDA

Full Approval/Conditional Approval

Benefit/Risk

Label



Toegang tot nieuw geneesmiddel

Vergoeding

Registratie - Diagnose

Vroege diagnostiek

Label



Toegang tot nieuw geneesmiddel

Deelname klinische testen

Compassionate Use

Off label Use

'Normaal'



'Management of expectations'



Therapeutische misconceptie

Psychologische support

Leren van andere trials

Verwachtingen belasting

Toegang



Geneesmiddelen ontwikkelen

Geld

Initiatieven ontwikkelen

Awareness

Lobbyen

Internationale samenwerking

Samenwerking

Geld- Andere fondsen

Awareness -UPPMD

Initiatieven - UPPMD - TREATNMD

Lobbyen - EURORDIS - UPPMD

Lobbyen NL- VSOP/NVK - VSN

