

## Die Einbeziehung der Patientenperspektive in neue Studien zur pulmonalen Hypertonie

Gemeinsame Sitzung mit der European Respiratory Society  
(ERS)

Pisana Ferrari, Mitglied des ESC-Patientenforums, Präsidentin der  
italienischen Vereinigung für pulmonale Hypertonie AIPI,  
Generalsekretärin der Allianz für pulmonale Hypertonie AfPH.

1. September 2024

1

### Inhalt meiner Präsentation

- Bedeutung der Einbeziehung der Patientenperspektive in die Arzneimittelentwicklung.
- Zusätzlicher Nutzen durch frühzeitige Einbeziehung (EMA-Umfrage).
- Fallstudie: Einbeziehung von Patienten in eine Phase-4-Studie Lenkungsausschuss.
- Erfassung der Patientenperspektive in klinischen Studien durch PROMs.
- Herausforderungen bei der Einbeziehung von Patienten in klinische Studien und der Verwendung von PROMs.
- Künftig: einige Vorschläge.

2

## Warum die Einbeziehung der Patientenperspektive (PP) in die Forschung wichtig ist



- Die Patienten verfügen über das Wissen, das sich aus der unmittelbaren Erfahrung mit der Krankheit ableitet, und sind die letztendlichen Nutzer der medizinischen Therapien.
- Ihr Beitrag sollte sich nicht auf die Teilnahme an klinischen Prüfungen beschränken (CTs).
- Die Einbeziehung der Patienten erleichtert die Erkennung von unerfüllten Patientenbedürfnissen.
- Sie hilft dabei, die Prioritäten der Produktentwicklung mit denen abzustimmen, die für die Patienten am wichtigsten sind.

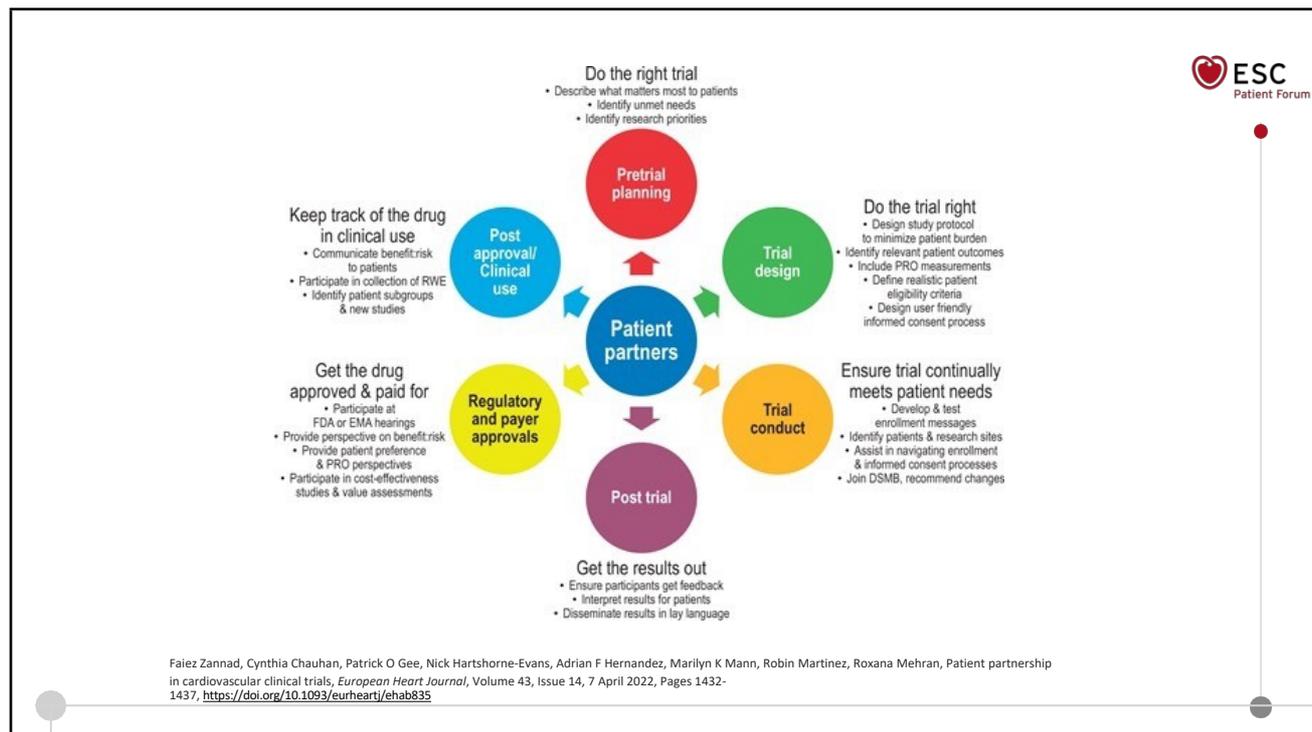
3

## Der Mehrwert einer frühzeitigen Einbeziehung des PP in den Prozess der Arzneimittelentwicklung



- EMA/FDA beziehen Patienten in ihre wissenschaftliche Beratung mit ein.
- Die EMA-Umfrage zeigt, dass
  - 20 % der wissenschaftlichen Empfehlungen, die die EMA den Unternehmen 2017-2020 gegeben hat, wurden aufgrund von Patientenbeiträgen geändert.
  - In mehr als 50 % der Fälle führten die Eingaben der Patienten zu zusätzlichen Überlegungen der EMA-Verfahrenskoordinatoren.

4



5

## Beispiel für die Einbeziehung von PP in einen KV: Hall Skaara

- Einladung zur Mitgliedschaft im Lenkungsausschuss der Phase IV-Studie
- Er beteiligte sich an Diskussionen über Endpunkte, die Häufigkeit, mit der die Patienten die Studienzentren aufsuchen müssen, Beiträge zur Endfassung usw.
- Er hielt einen Vortrag über seine Erfahrungen mit der PH während des ersten Treffens mit den Studienzentren (US&EU)
- Präsentation eines Posters mit den Studienergebnissen auf einer internationalen PH-Konferenz in den USA



Hall Skaara, PH-Patient, Mitbegründer und ehemaliger Präsident von PHA Norwegen

6

## Erfassung der PP in CTs über PROMs

- PROMs sind nützliche Instrumente, um direkt von den Patienten Informationen über ihren Gesundheitszustand, ihre Lebensqualität und die Behandlungsergebnisse zu erhalten.
- EMA/FDA fördern den Einsatz von PROMs zur Unterstützung von Zulassungsanträgen.
- Die PH-Leitlinien von ESC/ERS heben die Bedeutung von PROMs hervor und verweisen auf ihre mögliche Verwendung in klinischen Standarduntersuchungen. Praxis.
- WSPH empfehlen die Verwendung von PROMs als sekundäre Endpunkte zur Messung der HRQoL bei KVen.



Foto von Alex Green/Pexels

7

## World Symposium recommendations related to PROMs in clinical trials 2008-2018

- PROs be included as a secondary end-point in clinical drug studies<sup>1,2</sup>
- Including patients in the clinical trial design process may increase the importance of “overall wellbeing” as a central objective of medical care<sup>3</sup>
- Potentially place PROs as a clinical trial outcome on an equal footing with more traditional end-points. HRQoL could be included as an end-point by itself or as part of a multiparameter score, rather than simply a surrogate for other end-points such as survival or clinical deterioration<sup>3</sup>

1. McLaughlin VV, Badesch DB, Delcroix M, et al. End points and clinical trial design in pulmonary arterial hypertension. *J Am Coll Cardiol* 2009; 54: S97-S107.  
2. Gombert-Maitland M, Bull TM, Saggat R, et al. New trial designs and potential therapies for pulmonary artery hypertension. *J Am Coll Cardiol* 2013; 62: D82-D91.  
3. McGoan MD, Ferrari P, Armstrong I, et al. The importance of patient perspectives in pulmonary hypertension. *Eur Respir J* 2019; 53: 1801919.

8

## Herausforderungen für die Patientenbeteiligung an CTs



- Mangelndes Wissen über KVs, Misstrauen
- Berufliche/familiäre Zwänge
- Zusätzliche Belastung für die bereits komplexe Arzneimitteltherapie
- Gesundheitszustand, Alter, Vorhandensein von Behinderungen
- Reisen, geografische Einschränkungen, Kosten, Zeit



Foto von Leeloo The First/Pexels

9

## Herausforderungen für Patienten bei der Verwendung von PROMs



- Patienten erkennen möglicherweise nicht den Wert des Ausfüllens von PROMs, vor allem wenn sie die Auswirkungen nicht verstehen/keine Rückmeldung erhalten
- Zugänglichkeit: Gesundheit/Digitalkompetenz
- Emotionale/kognitive Schwierigkeiten
- PROMs nicht kultursensibel/nicht in der bevorzugten Sprache des Patienten.
- Umfragemüdigkeit: falls wiederholt/häufig



Foto: Victoria Vald/Pexels

10

## Künftig

- Bessere Patientenaufklärung
- Veränderung der Einstellung zum Wert von PROMs
- Zusammenarbeit mit Patientenverbänden
- Dezentralisierung der klinischen Prüfungen
- Einsatz von digitalen Gesundheitstechnologien



Foto von Ketut Subiyanto/Pexels

11

## Schlussfolgerungen

- Der Beitrag der Patienten bereichert und ergänzt die medizinischen und wissenschaftlichen Diskussionen.
- Die Einbeziehung von PP in die PH-Forschung ist noch sehr begrenzt
- Fortschritte erfordern die vollständige Integration von PP in jeden Aspekt der Arzneimittelentwicklung.
- Bessere Patientenaufklärung, Zusammenarbeit mit PAs, Dezentralisierung von Studien und Nutzung neuer Technologien können dazu beitragen, die Einbeziehung von Patienten und die Nutzung von PROMs in neuen PH CTs zu verbessern

12

## Referenzen



- Murphy, Aisling & Bere, Nathalie & Vamvakas, Spiros & Mavris, Maria. (2022). The Added Value of Patient Engagement in Early Dialogue at EMA: Scientific Advice as a Case Study. *Frontiers in Medicine*. 8. 10.3389/fmed.2021.811855. Almeida D, Umuhire D, Gonzalez-Quevedo R, António A, Burgos JG, Verpillat P, Bere N, Sepodes B, Torre C. [https://www.researchgate.net/publication/357991795\\_The\\_Added\\_Value\\_of\\_Patient\\_Engagement\\_in\\_Early\\_Dialogue\\_at\\_EMA\\_Scientific\\_Advice\\_as\\_a\\_Case\\_Study](https://www.researchgate.net/publication/357991795_The_Added_Value_of_Patient_Engagement_in_Early_Dialogue_at_EMA_Scientific_Advice_as_a_Case_Study)
- Nutzung von Patientenerfahrungsdaten zur Steuerung der Arzneimittelentwicklung, der Regulierung, der Zugangsentscheidungen und der klinischen Versorgung in der EU. *Front Med (Lausanne)*. 2024 May 23;11:1408636. doi: 10.3389/fmed.2024.1408636. PMID: 38846141; PMCID: PMC11153762. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC11153762/#ref9>
- Die sich entwickelnde Rolle dezentraler klinischer Studien und digitaler Gesundheitstechnologien, FDA, 05/02/2023, <https://www.fda.gov/drugs/cder-conversations/evolving-role-decentralized-clinical-trials-and-digital-health-technologies>
- Es ist an der Zeit, den Patienten einen Platz am Tisch zu geben. Spielverändernde Fortschritte können erzielt werden, wenn die Zusammenarbeit mit den Patienten und ihre Prioritäten in die gesamte Bandbreite der Studienplanung integriert werden, Chris Boone, *MedCity News*, 24.4.2024 <https://medcitynews.com/2024/04/its-time-to-give-patients-a-seat-at-the-table/>
- Navigating a Digital-Era Shift to Patient-Mediated Research, 18.4.2024, Vincent Keunen, *Applied Clinical Trials*, <https://www.appliedclinicaltrials.com/view/navigating-a-digital-era-shift-to-patient-mediated-research>
- Marc Humbert, Gabor Kovacs, Marius M Hoepfer, Roberto Badagliacca, Rolf M F Berger, Margarita Brida, Jörn Carlsen, Andrew J S Coats, Pilar Escribano-Subias, Pisana Ferrari, Diogenes S Ferreira, Hossein Ardeschir Ghofrani, George Giannakoulas, David G Kiely, Eckhard Mayer, Gergely Meszaros, Blin Nagavci, Karen M Olsson, Joanna Pepke-Zaba, Jennifer K Quint, Göran Rådegran, Gerald Simonneau, Olivier Sitbon, Thomy Tonia, Mark Toshner, Jean Luc Vachiery, Anton Vonk Noordegraaf, Marion Delcroix, Stephan Rosenkranz, ESC/ERS Scientific Document Group, 2022 ESC/ERS Guidelines for the diagnosis and treatment of pulmonary hypertension: Entwickelt von der Arbeitsgruppe für die Diagnose und Behandlung der pulmonalen Hypertonie der Europäischen Gesellschaft für Kardiologie (ESC) und der European Respiratory Society (ERS). Befürwortet von der Internationalen Gesellschaft für Herz- und Lungentransplantation (ISHLT) und dem Europäischen Referenznetzwerk für seltene Atemwegserkrankungen (ERN-LUNG), *European Heart Journal*, Band 43, Ausgabe 38, 7. Oktober 2022, Seiten 3618-3731, <https://doi.org/10.1093/eurheartj/ehac237>
- Chopra H, Annu, Shin DK, Munjal K, Priyanka, Dhama K, Emran TB. Revolutionierung klinischer Studien: die Rolle der KI bei der Beschleunigung medizinischer Durchbrüche. *Int J Surg*. 2023 Dec 1;109(12):4211-4220. doi: 10.1097/IS9.0000000000000705. PMID: 38259001; PMCID: PMC10720846. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC10720846/#:~:text=Adopting%20AI%20solutions%20in%20the,in%20the%20drug%20development%20process.>

13

## Want to know more?



Check out the 'Patient perspective' track in the scientific program.



Visit us at 'Patient Central' in the ESC Exchange Area (near ESC TV!)

ESC Congress 2024  
London & Online

14

**Vielen Dank für Ihre freundliche Aufmerksamkeit**