

A black and white photograph of a man and a young child running on a sandy beach. The man is in the foreground, running towards the right, wearing a light-colored t-shirt and dark pants. The child is running behind him to the left, wearing a light-colored shirt and shorts, and a bucket hat. The ocean waves are visible in the background.

# 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

Streng 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'

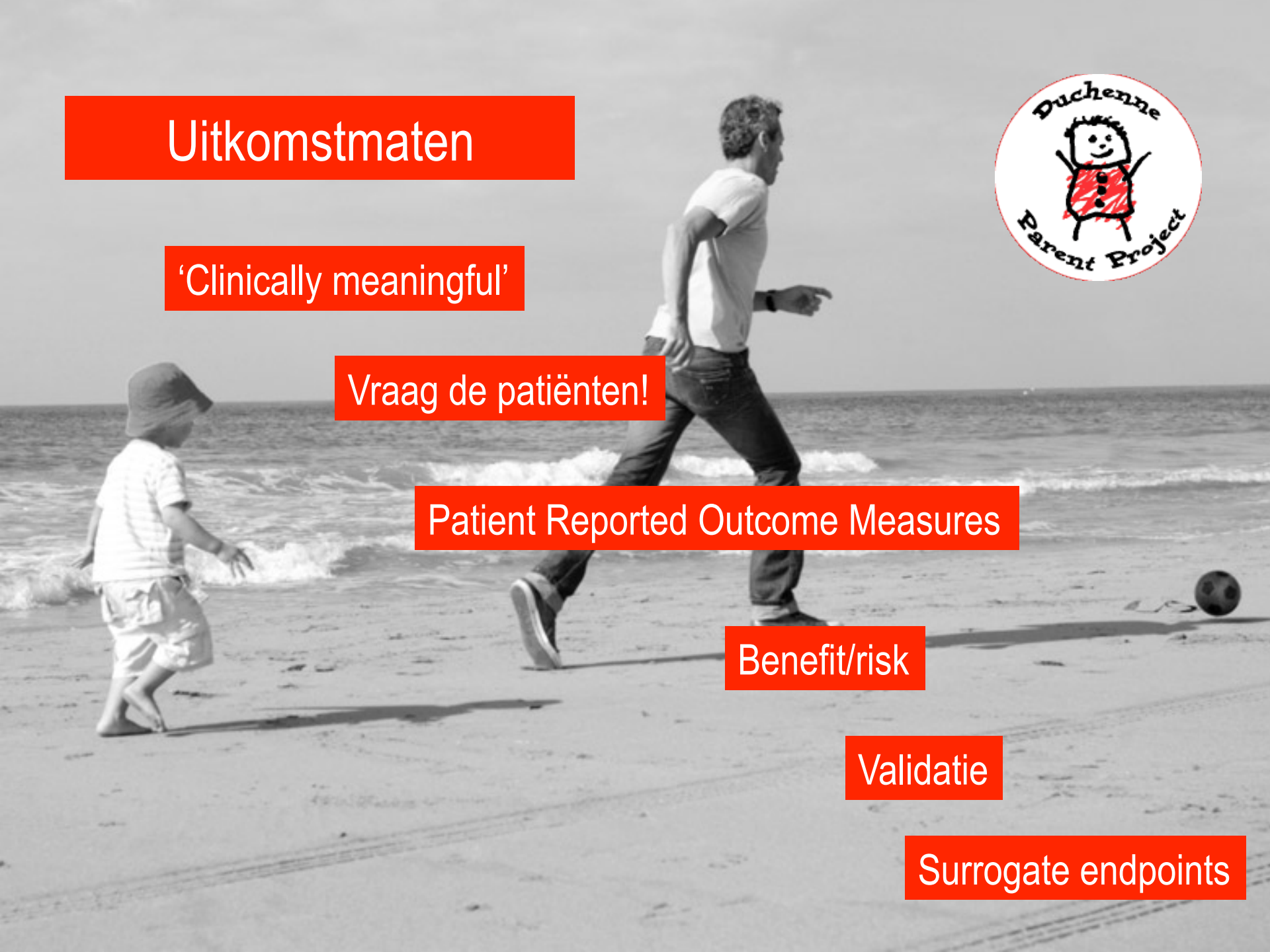
Vraag de patiënten!

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