

LAM Treatment Alliance Global LAM Patient Summit 11-13 januari 2008, Oxford, Storbritannien

Konferensrapport och Nästa Steg

Hur kan patienter underlätta forskningen?

57 forskare, kliniker, patienter och anhöriga från 17 olika länder möttes nyligen i Oxford för att utveckla konkreta framsteg i forskningen efter behandling vid LAM. Syftet var att etablera vägar för att patienter ska kunna stödja och underlätta forskningen.

Den mest begränsande faktorn för forskningen är inte brist på intresse hos forskarna, inte heller pengar utan tillgången till LAM vävnad (tissue) och patient-data. Forskarna emotser vävnad inklusive vätska från LAM-patienter för att kunna fortsätta sitt arbete. Vetenskapen avskräcks ofta av det ringa antal patienter i länderna, vilket är ett hinder för forskningen. Under vår konferens i Oxford uppmärksammades dessa två stora problem och följande lösningar hittades.

1. Europeiskt tissue-network (vävnads-nätverk)

Den stora hindrande faktorn är tillgången till vävnad. Vävnad är allt som potentiellt innehåller LAM-celler, såsom prov från lymfvätska (i lungsäcken eller i buken), blod, urin, lungor och njurar samt bronkit-sköljningsvätska.

LAM-forskningen är i desperat behov av vävnad

Amerikanska NDRI (National Disease Research Interchange) har sedan mars 2007 koordinerat införskaffning och distribution av färsk och fixerad LAM vävnad med mycket stort engagemang till bästa resultat.

I en session avsatt för bristen på vävnad, beslutades att NDRI ska hantera LAM vävnad såväl inom som utom USA, för att därigenom skapa ett effektivt globalt nätverk för forskningen. Eftersom NDRI har den erforderliga erfarenheten och expertisen ansågs att samarbetet med NDRI är den snabbaste lösningen för att förse forskningen med tillgång till vävnaden de så brådskande behöver. I en omröstning gavs överväldigande stöd för att omedelbart starta samarbetet med NDRI, som erbjuder såväl en omedelbar, billig, öppen och neutral lösning på vävnads-bristen som en omfattande kunskap om forskarnas behov och en professionell hantering av logistiken. NDRI är inte endast en vävnadsbank utan ställer också aktivt frågan till forskare som skulle vilja arbeta med LAM vävnadsprov och de har medlen att koppla ihop vävnad och forskare inom några få timmar. Detta är helt avgörande vid hanteringen av färsk vävnad. De är också anlitade för att registrera patient-donatorer och försäkra snabbt agerande. Det mesta av NDRI's stöd kommer till att börja med att riktas mot Europa. NDRI kommer att undersöka möjligheterna för att assistera i andra delar av världen.

Vad kan du göra?

Om du skulle vilja donera din vävnad och vätska till LAM-forskningen, är första steget att lämna kontaktuppgifter och fylla i ett formulär för samtycke.

Formuläret håller nu på att uppdateras och översättas till andra språk än engelska. Patienter i länder där engelska inte är ett officiellt språk måste fylla i formuläret på sitt officiella språk, även om de talar flytande engelska. Just nu kan du klicka på länken nedan och lämna dina uppgifter till NDRI, så skickas formuläret till dig så snart det är färdigt. Om du bor i ett land där engelskan är officiellt språk, kan du registrera dig och samtycka omedelbart.

Klicka på länken nedan och klicka på ”Register to donate”

http://www.ndriresource.org/Donor_Programs/Individual_Donors/37/

Om du vet att du ska genomgå en biopsi, thorax-dränage, transplantation, bronkit-sköljning, eller **annat invärtes ingrepp**, var snäll och sänd NDRI ett e-mail och tala om vilket ingrepp som ska göras, var och när (naturligtvis kan de som väntar på transplantation inte meddela tiden för operation, men om allt pappersjobb är på plats, kommer det att spara tid när samtalet kommer). För andra ingrepp är en dags förvarning bättre än ingen alls. Ju tidigare vi kan förbereda NDRI desto bättre chans att allt klaffar. Vi kommer snart att cirkulera en omfattande lista på de vävnader (flytande och fast, som är angelägna för forskarna. Det är sannolikt att blod och urin blir alltmer värdefullt, - så var beredd!

Detta är länken till NDRI's December Nyhetsbrev med nyheter kring deras LAM-vävnads ansvar (se s 2):

http://www.ndriresource.org/SiteData/docs/ARareInsight12_07/0bc3e8212189efed253bd5109c43aed3/ARareInsight12_07.pdf

2. Global LAM-databas: LAMsight

MIT (Massachusetts Institute of Technology) Media Lab håller på att utforma en databas där LAM-patienter över hela världen kan registrera sina uppgifter. Detta är viktigt så att forskarna kan ta reda på hur många patienter som finns i varje land och annan allmän information om dem. Detta kommer att hjälpa utformningen av kliniska försök och kommer också att hjälpa forskare och andra patienter (förutsatt att du tillåter denna möjlighet vid registreringen) att kontakta dig med nyheter om utvecklingen av forskning och kliniska försök.

Data kommer att vara ytterst väl skyddat från otillbörlig access och patientens integritet har högsta prioritet i databasens utförande. Som registrerad användare får patienter också tillgång till totala data. LAMsight kommer att vara användbart för intresserade kliniker och för LAM-forskare (nya och existerande), som försöker förstå sjukdomen utifrån tillgång till en mycket större

population än vad annars skulle vara fallet. Just nu testas en preliminär version av databasen. Den kommer att annonseras på LTA´s hemsida och på så många andra LAM organisationers webbsida som möjligt så snart som registreringen öppnas för hela LAM samfundet. Vi förväntar oss att det sker inom 3 – 6 månader.

Databasen kommer förmodligen att ge patienterna större möjlighet till mer systematiska svar på deras frågor. Frågor och svar som idag postas på lokala mail-listor kommer att kunna organiseras effektivt och göras tillgängliga för många fler patienter.

Närvarande kliniker och forskare på konferensen är övertygade om att detta är den bästa möjligheten att hantera det lilla antalet LAM-patienter. Detta ger forskarna tillgång till en mycket större data-pool och möjligheter att kunna kontakta villiga patienter för att få ytterligare information och kunna invitera dem att delta i kliniska försök. Vi kommer att arbeta nära forskarna för att försäkra oss att databasen är utformad på ett sätt som maximerar användbarheten och anpassas både till forskning och gällande förordningar.

3. Kliniska försök och ”off-label drug use” (utan föreskrift)

Dr Ulrich Costabel (Tyskland) underströk vikten av kliniska försök och av att ha tillräckligt stort antal patienter för att få fram signifikanta resultat. Läkemedelsförsök kommer bara att vara möjligt om det finns tillräckligt många patienter som är villiga att delta vid en specifik tidpunkt. Utan väl designade kliniska försök och tillräckligt antal deltagande patienter, kommer det att vara mycket svårt att finna en effektiv behandling och att kunna bedöma effekten och säkerheten för potentiella behandlingar vid LAM. Klinikerna vid konferensen medgav att patienter med snabb försämring kanske inte kommer att kunna invänta försöken. För att ta itu med detta problem kommer LTA omedelbart att samarbeta med forskare för att skapa ett ”off-label use” protokoll.

Det är bara genom samarbete och gemensamma krafter som vi kan åstadkomma snabbast möjliga framsteg i vår strävan efter en behandling. Genom att donera vävnad och delta i den initierade utformningen av den globala databasen, (och sen i den slutgiltiga versionen när den är klar), kan vi hjälpa forskarna att hjälpa oss!

Med vänlig hälsning

The Global Patient Summit Coordinating Committee

