

Klinische proeven met gedecentraliseerde elementen: Resultaten van de enquête bij patiëntenverenigingen/patiëntexperten

Dit samenvattende rapport omvat de resultaten van een enquête uitgevoerd door pharma.be, de koepelorganisatie van de innovatieve farmaceutische industrie in België, die tot doel had inzicht te krijgen in de perspectieven en voorkeuren van deelnemers aan klinische studies met betrekking tot de decentralisatie van bepaalde onderzoeksstudieactiviteiten. De enquête werd door pharma.be digitaal verspreid via SurveyMonkey onder patiëntenorganisaties en patiëntexperten in België in februari en maart 2024.

Achtergrond

De innovatieve geneesmiddelen, vaccins en andere behandelingen die nu beschikbaar zijn voor patiënten, zijn het resultaat van vele jaren klinisch onderzoek en ontwikkeling. Klinische studies zijn complex en streng gereguleerd en kunnen gemakkelijk 10 tot 12 jaar duren. Deze onderzoeken zijn erg belangrijk om nieuwe potentiële geneesmiddelen te testen op werkzaamheid, veiligheid en verdraagbaarheid.

Traditioneel werden deze onderzoeken voornamelijk uitgevoerd in ziekenhuizen en klinische onderzoekscentra. Dank zij de vooruitgang in technologie en de veranderende voorkeuren van patiënten, is er een groeiende interesse in het verkennen van nieuwe en innovatieve benaderingen voor het uitvoeren van klinische studies.

In een klinische studie met gedecentraliseerde activiteiten worden sommige onderzoeksactiviteiten buiten het ziekenhuis uitgevoerd, maar nog steeds onder controle van de onderzoeker van de studie, bijvoorbeeld bij de deelnemer thuis. Dit betekent echter niet dat alle activiteiten thuis plaatsvinden (bijvoorbeeld specifieke bezoeken met de onderzoeker, scans, biopsies... die nog steeds in het ziekenhuis plaatsvinden). Deze nieuwe benadering van klinisch onderzoek is erop gericht om zoveel mogelijk rekening te houden met de voorkeuren en behoeften van de deelnemers en hen zo meer flexibiliteit te bieden.

Het doel van deze flexibiliteit bij het uitvoeren van bepaalde onderzoeksactiviteiten bij de deelnemer thuis is om:

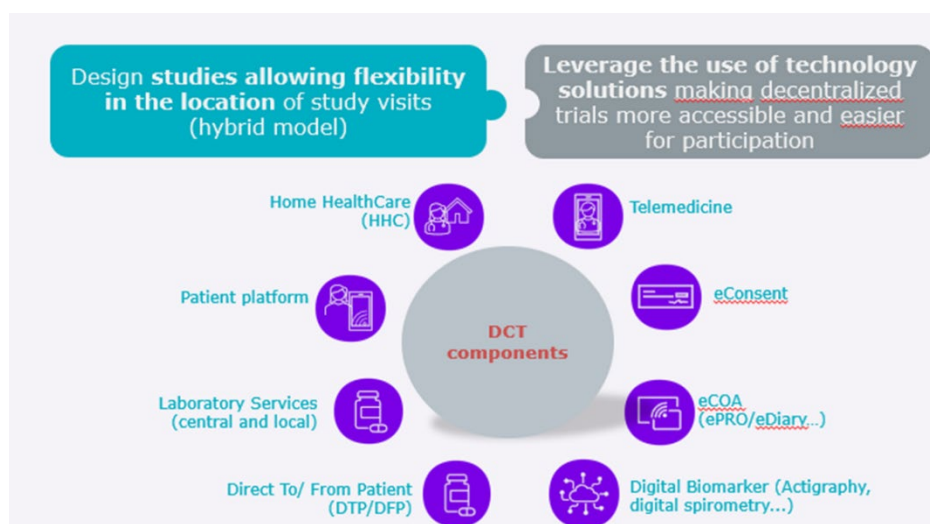
- de deelnamemogelijkheden te vergroten en om eventuele belemmeringen voor deelnemers (bijv. duur van het traject) te verminderen.
- de groep deelnemers te vergroten en uit te breiden, zodat er meer diversiteit ontstaat;

- de monitoring en betrokkenheid van deelnemers aan het onderzoek te verbeteren;
- de real-time gegevensverzameling bij deelnemers te optimaliseren en hierdoor de kwaliteit van deze gegevens te verbeteren en het monitoren ervan te vereenvoudigen.

Patients	Investigators	Sponsor
<ul style="list-style-type: none"> • Increase options for participation • Minimize disruption in daily activities • Decrease burden 	<ul style="list-style-type: none"> • Increase outreach to facilitate recruitment • Improve participants compliance/retention • Optimize data collection in real time • Enhance participant engagement 	<ul style="list-style-type: none"> • Increase diversity of participants • Collect data in real-life setting • Enhance data quality with direct collection from participants • Simplify monitoring and review processes

Voorbeelden van onderzoeksactiviteiten in klinische studies die buiten het ziekenhuis kunnen plaatsvinden, bij de deelnemer thuis, zijn onder andere:

- Het onderzoeksgeneesmiddel rechtstreeks verzenden van de ziekenhuisapothek naar het privé-adres van de deelnemer;
- Het op afstand verkrijgen van de elektronische toestemming voor deelname aan het onderzoek (met informatie over het onderzoek verstrekt door de onderzoeker via videoconferentie);
- Sommige (follow-up) bezoeken op afstand uitvoeren via videoconferentie of telefoon;
- Het toedienen van bepaalde behandelingen door een verpleegkundige bij de deelnemer thuis;
- Digitale hulpmiddelen gebruiken om vanop afstand bepaalde medische gegevens in realtime te verzamelen en vanop afstand parameters van deelnemers te controleren, bijvoorbeeld sensoren, Apple Watch, enz.



Aperçu de l'enquête

Doel: pharma.be wenste inzicht te krijgen over de behoeften, perspectieven en voorkeuren van deelnemers aan klinische studies (patiënten) inzake de decentralisatie van bepaalde onderzoeksactiviteiten van ziekenhuizen naar de woning van de deelnemers.

Doelgroep van de enquête:

- iedereen die al heeft deelgenomen aan een klinische studie
- begeleiders/verzorgers van patiënten die deelnemen/hebben deelgenomen aan een klinische studie
- personen met grote expertise op het gebied van klinische studies (bijvoorbeeld deskundige patiënten of via patiëntenverenigingen)

Résultats

In totaal werden 31 reacties op de enquête ontvangen.

Resultaten van de gesloten vragen

Hieronder volgt een uitsplitsing van het percentage respondenten dat voor elk type gedecentraliseerde onderzoeksactiviteit aangaf dat dit:

- de motivatie zou verhogen;
- de naleving van het onderzoeksprotocol zou verbeteren;
- meer diversiteit qua populatie zou mogelijk maken;
- potentiële nadelen voor deelnemers zou kunnen hebben.

Dit waren gesloten vragen waarbij de respondenten moesten selecteren wat van toepassing was (meerdere antwoorden waren mogelijk).

- **Directe verzending van onderzoeksgeneesmiddelen naar het huis van de deelnemers:**
 - **68 % van de respondenten gaf aan dat het de motivatie om deel te nemen aan klinische onderzoeken zou vergroten.**
 - 52 % van de respondenten gaf aan dat het de naleving van het onderzoeksprotocol zou verbeteren.
 - 65 % van de respondenten geloofde dat het een meer diverse populatie in staat zou stellen om deel te nemen aan klinische onderzoeken.
 - 21 % van de respondenten toonde zich bezorgd over mogelijke nadelen voor deelnemers.
- **Elektronische informatie en toestemming voor deelname op afstand:**
 - **77 % van de respondenten gaf aan dat het de motivatie om deel te nemen zou vergroten.**
 - 35 % van de respondenten gaf aan dat het de naleving van het onderzoeksprotocol zou verbeteren.
 - 42 % van de respondenten geloofde dat het een meer diverse populatie in staat zou stellen om deel te nemen.
 - 31 % van de respondenten toonde zich bezorgd over een mogelijke achterstand.

- **Organiseren van (follow-up) bezoeken op afstand:**
 - 77 % van de respondenten gaf aan dat het de motivatie om deel te nemen zou vergroten.
 - 77 % van de respondenten gaf aan dat het de naleving van het onderzoeksprotocol zou verbeteren.
 - 68 % van de respondenten geloofde dat het een meer diverse bevolking in staat zou stellen om deel te nemen.
 - 28 % van de respondenten toonde zich bezorgd over mogelijke nadelen.

- **Organisatie van bezoeken met een verpleegkundige bij de deelnemers thuis:**
 - 74 % van de respondenten gaf aan dat het de motivatie om deel te nemen zou vergroten.
 - 74 % van de respondenten gaf aan dat het de naleving van het onderzoeksprotocol zou verbeteren.
 - 81 % van de respondenten geloofde dat het een meer diverse bevolking in staat zou stellen om deel te nemen.
 - 10 % van de respondenten toonde zich bezorgd over mogelijke nadelen.

- **Gebruik van digitale hulpmiddelen voor real-time gegevensvastlegging:**
 - 87 % van de respondenten gaf aan dat het de motivatie om deel te nemen zou vergroten.
 - 81 % van de respondenten gaf aan dat het de naleving van het onderzoeksprotocol zou verbeteren.
 - 42 % van de respondenten geloofde dat het een meer diverse populatie in staat zou stellen om deel te nemen.
 - 28% van de respondenten toonde zich bezorgd over mogelijke nadelen.

Daarnaast hadden respondenten de mogelijkheid om meer informatie te geven over waarom een bepaald antwoord werd gegeven (open veld). Deze feedback is als volgt samengevat:

Het verminderen van de tijdsinvestering en de mentale belasting die gepaard gaan met deelname aan een klinische studie kan zeker een positieve invloed hebben op de motivatie om deel te nemen aan een studie en op de inclusie van de actieve & jonge populatie.

De ziekenhuisomgeving kan echter geruststellend zijn voor sommige respondenten, die er de voorkeur aan geven om studiebezoeken en procedures in het ziekenhuis te laten plaatsvinden, ondanks de duur van het traject en de hinder. Sommige respondenten benadrukken dat menselijke, persoonlijke contacten primordiaal blijven en vooral belangrijk zijn aan het begin van de studie.

Digitale hulpmiddelen worden door de respondenten beschouwd als de sleutel om de therapietrouw te verbeteren (i) via de meting van sommige parameters in realtime, (ii) via follow-upbezoeken via videoconferentie die een voortdurende ondersteuning bieden. Andere respondenten wezen echter op het gevoel van "controle" dat het kan creëren.

Hoewel deze digitale hulpmiddelen de therapietrouw positief kunnen beïnvloeden en de deelname van sommige bevolkingsgroepen kunnen vergemakkelijken, kan het gebruik ervan moeilijk zijn voor andere bevolkingsgroepen (door de numerieke breuk) en hun deelname en inclusiviteit in de klinische studies verhinderen als het gebruik van deze hulpmiddelen verplicht zou worden.

Resultaten van de open vragen

Naast de gesloten vragen bevatte de enquête drie open vragen waarin respondenten werden gevraagd om andere voordelen die zij zagen in gedecentraliseerde elementen in klinische studies te delen, mogelijke nadelen te identificeren en andere elementen voor te stellen die gedecentraliseerd zouden kunnen worden.

- **Andere voordelen van gedecentraliseerde elementen in klinisch onderzoek:**
 - Minder discriminatie bij deelname.
 - Verbeterde levenskwaliteit en minder impact op het dagelijkse leven.
 - Verbeterde patiëntervaring en empowerment.
 - Mogelijkheid voor deelnemers om bij familie te verblijven.
 - Flexibiliteit en gemak van behandeling/verzorging.
 - Ecologische en financiële overwegingen

- **Nadelen van gedecentraliseerde elementen:**
 - Minder contact met het onderzoeksteam, wat kan leiden tot mogelijk verlies van vertrouwen.
 - Onpersoonlijke omgeving en gevoelens van eenzaamheid/angst.
 - Uitdagingen in het organiseren van de centralisatie van de activiteiten en in het behouden van consistentie tussen die activiteiten.
 - Beschikbaarheid van getrainde verpleegkundigen (bij voorkeur altijd dezelfde verpleegkundige).
 - Risico op uitsluiting van minder digitaal begaafde personen.
 - Mogelijk gebrek aan therapietrouw door verkeerde interpretaties van de deelnemer.

- **Andere elementen die gedecentraliseerd kunnen worden:**
 - Vragenlijsten die thuis moeten worden ingevuld.
 - Gebruik van digitale hulpmiddelen voor gepersonaliseerde behandeling en informatie over de ziekte.

Discussie

Verhoging van de motivatie van patiënten

De directe verzending van het geneesmiddel voor onderzoek naar het huis van de deelnemer, de organisatie van (follow-up) bezoeken op afstand, het gebruik van elektronische informatie en toestemming op afstand, de organisatie van huisbezoeken met een verpleegkundige en het gebruik van digitale hulpmiddelen voor real-time gegevensvastlegging worden door een grote meerderheid (68 % - 87 %) van de respondenten beschouwd als gedecentraliseerde elementen die de motivatie om deel te nemen aan een klinische studie zouden vergroten. De belangrijkste drijfveren achter deze motivatie zijn de verminderde tijdsinvestering, zoals traject, en de minimale impact van het onderzoek op de dagelijkse activiteiten die deze elementen met zich meebrengen.

Verbetering van de therapietrouw van patiënten

Verder worden het op afstand organiseren van (follow-up)bezoeken, huisbezoeken met een verpleegkundige en het gebruik van digitale hulpmiddelen voor het realtime vastleggen van gegevens door een grote meerderheid (74-81%) van de respondenten gezien als elementen die de therapietrouw aan het studieprotocol zouden kunnen vergroten. Online bezoeken op afstand zouden de mogelijkheid kunnen bieden voor frequenter contact met het studieteam, terwijl digitale hulpmiddelen het vastleggen van gegevens in realtime zouden vergemakkelijken, wat beide bijdraagt aan meer flexibiliteit en gemak

van behandeling/zorg, wat mogelijk een positieve invloed kan hebben op de naleving van het protocol. Bovendien zou het vastleggen van gegevens in realtime gebruikt kunnen worden voor de door de patiënt gerapporteerde resultaten en de maatstaven voor patiëntervaringen, waarvan het gebruik nu aanzienlijk toeneemt.

Bevordering van patiëntendiversiteit

De organisatie van huisbezoeken met een verpleegkundige wordt door 81 % van de respondenten beschouwd als een mogelijkheid om een meer diverse populatie te laten deelnemen aan de studie. Daarnaast wijst respectievelijk 68 % en 65 % van de respondenten erop dat het gebruik van bezoeken op afstand en de directe verzending van onderzoeksgeneesmiddelen naar het huis van de deelnemer gedecentraliseerde elementen zijn die diversiteit in klinische studies bevorderen. De respondenten hebben echter onderstreept dat het vergroten van de diversiteit in een klinische studie niet alleen kan worden verbeterd door één factor of door de decentralisatie van activiteiten. In plaats daarvan is een combinatie van maatregelen nodig die verder gaat dan de decentralisatie van de activiteiten in klinische studies.

Aandachtspunten

In de enquête werden niet alleen de voordelen van de decentralisatie van activiteiten in klinische studies benadrukt, maar werden ook potentiële nadelen en aandachtspunten door de respondenten geschetst. Toch blijven deze beperkt, met slechts tussen de 10 % en 31 % (afhankelijk van het element) van de respondenten die hun bezorgdheid uiten over potentiële nadelen voor een van de gedecentraliseerde activiteiten. Gerapporteerde potentiële nadelen zijn onder andere het verminderde contact met het studieteam, wat decentralisatie met zich mee kan brengen, evenals de onpersoonlijke setting en het gevoel van eenzaamheid of angst dat het kan opwekken, samen met het risico op verlies van vertrouwen door de deelnemers. Daarnaast kan het gebruik van digitale hulpmiddelen volgens de respondenten een risico zijn om minder digitaal vaardige deelnemers uit te sluiten van het onderzoek.

Conclusie en toekomstperspectieven

Concluderend bieden de resultaten van de enquête waardevolle inzichten in de behoeften, perspectieven en voorkeuren van deelnemers met betrekking tot gedecentraliseerde elementen in klinische studies. Ze belichten zowel de potentiële voordelen als de zorgen die een dergelijke implementatie met zich meebrengt.

Gebaseerd op de feedback van de respondenten minimaliseren gedecentraliseerde activiteiten in klinische studies verstoringen in het dagelijkse leven, in tijdsbestedingen, verplichtingen en de mentale druk die gepaard gaan met deelname. Deze verbetering in de ervaring van de patiënt zou een positieve invloed kunnen hebben op de motivatie om deel te nemen en op de naleving van het studieprotocol. Het gebruik van digitale technologieën maakt het mogelijk dat de deelnemers thuis op afstand kunnen werken. Men moet er echter op letten dat dit gebruik sommige personen met weinig digitale mogelijkheden niet uitsluit van een klinische studie. Het belang van menselijk contact tussen het onderzoeksteam en de deelnemer blijft van vitaal belang om het vertrouwen en de zekerheid van de deelnemer te behouden.

Het succes van de decentralisatie van sommige elementen in een klinische studie is afhankelijk van een robuuste organisatie, effectieve coaching, voldoende informatie en een goede balans tussen activiteiten op afstand en persoonlijke interacties.

Gezien de diversiteit van de deelnemers is een standaardaanpak niet geschikt. Daarom biedt optionele decentralisatie voor bepaalde onderzoeksactiviteiten individuen de mogelijkheid om hun deelname af te stemmen op hun behoeften.

Bijlage: vragenlijst enquête

Uw mening telt: decentralisatie van klinische studies

Introductie enquête

pharma.be is de koepelorganisatie van de farmaceutische industrie in België. pharma.be wenst graag een beter inzicht te verkrijgen in de perspectieven en voorkeuren van deelnemers aan klinische studies met betrekking tot het verplaatsen van bepaalde onderzoeksactiviteiten van het ziekenhuis naar de deelnemer thuis (ook decentralisatie van deze activiteiten genoemd). Graag nodigen we u uit om de onderstaande enquête in te vullen. We vragen naar uw mening over de mogelijke impact voor verschillende aspecten van een gedecentraliseerde klinische studie.

Deze enquête neemt ongeveer 10 minuten van uw tijd in beslag. Bij het invullen van deze enquête worden geen persoonsgegevens gevraagd in de zin van de bestaande wetgeving op gegevensbescherming (GDPR). De resultaten zijn anoniem en worden geaggregeerd.

Wat is een gedecentraliseerde klinische studie?

Een klinische studie is een wetenschappelijk onderzoek dat wordt uitgevoerd om nieuwe medische behandelingen, geneesmiddelen of interventies te testen. In een gedecentraliseerde klinische studie worden een aantal onderzoeksactiviteiten buiten het ziekenhuis uitgevoerd, maar toch onder de controle van de onderzoeker, bijvoorbeeld bij de deelnemer thuis. Dit betekent echter niet dat alle activiteiten thuis plaatsvinden (denk aan specifieke bezoeken bij de onderzoeker, scans, biopsies,... die nog steeds in het ziekenhuis plaatsvinden). Deze nieuwe aanpak van klinisch onderzoek maakt het mogelijk om zoveel mogelijk rekening te houden met de voorkeuren en noden van de deelnemers, en biedt dus meer flexibiliteit voor de deelnemers.

Doel van deze flexibiliteit in de uitvoering van bepaalde onderzoeksactiviteiten bij de deelnemer thuis:

- **Vergroten van de mogelijkheden voor deelname en verminderen van eventuele lasten voor deelnemers (bijvoorbeeld transport tijd);**
- **Vergroten en verbreden (meer diversiteit in populatie) van de deelnemersgroep en verbeteren van de opvolging en het engagement van deelnemers aan het onderzoek;**
- **Optimaliseren van real-time gegevensverzameling van de deelnemer, verbeteren van de kwaliteit van deze gegevens en vereenvoudigen van de opvolging van deze gegevens.**

Voorbeelden van onderzoeksactiviteiten in klinische studies die buiten het ziekenhuis, bij de deelnemer thuis, zouden kunnen plaatsvinden:

- **Verzenden van het geneesmiddel voor onderzoek vanuit de ziekenhuisapotheek rechtstreeks naar het huis van de deelnemer;**

- **Geven van elektronische toestemming voor deelname op afstand aan de studie (met informatie over het onderzoek verstrekt door de onderzoeker via videoconferentie);**
- **Organiseren van enkele (opvolg)bezoeken op afstand via videoconferentie of telefoon;**
- **Organiseren van enkele toedieningen door een verpleger bij de deelnemer thuis;**
- **Gebruik van digitale hulpmiddelen om bepaalde medische gegevens op afstand en in real-time te verzamelen en de parameters van de deelnemer op afstand te volgen bijv sensors , apple watch,...**
-

1. Welke van de onderstaande mogelijkheden zouden volgens u **motiveren** om aan een klinische studie deel te nemen?

- Verzenden van het geneesmiddel voor onderzoek vanuit de ziekenhuisapotheek rechtstreeks naar het huis van de deelnemer
- Geven van elektronische toestemming voor deelname op afstand aan de studie (met informatie over het onderzoek verstrekt door de onderzoeker via videoconferentie)
- Organiseren van enkele (opvolg)bezoeken op afstand via videoconferentie of telefoon
- Organiseren van enkele toedieningen door een verpleger bij de deelnemer thuis
- Gebruik van digitale hulpmiddelen om bepaalde medische gegevens op afstand en in real-time te verzamelen en de parameters van de deelnemer op afstand te volgen bijv sensors , apple watch,...
- Geen van bovenstaande

Waarom wel/niet?

2. Welke van de onderstaande mogelijkheden zouden volgens u de **therapietrouw** (*het correct volgen van de behandeling en het protocol*) van de deelnemers aan de klinische studie kunnen bevorderen?

- Verzenden van het geneesmiddel voor onderzoek vanuit de ziekenhuisapotheek rechtstreeks naar het huis van de deelnemer
- Geven van elektronische toestemming voor deelname op afstand aan de studie (met informatie over het onderzoek verstrekt door de onderzoeker via videoconferentie)
- Organiseren van enkele (opvolg)bezoeken op afstand via videoconferentie of telefoon
- Organiseren van enkele toedieningen door een verpleger bij de deelnemer thuis
- Gebruik van digitale hulpmiddelen om bepaalde medische gegevens op afstand en in real-time te verzamelen en de parameters van de deelnemer op afstand te volgen bijv sensors , apple watch,...
- Geen van bovenstaande

Waarom wel/niet?

3. Welke van de onderstaande mogelijkheden zouden volgens u kunnen helpen om een **meer diverse populatie** (*een grote verscheidenheid aan demografische profielen, met name wat betreft etniciteit, geslacht, leeftijd, sociaal-economische status, enzoverder*) in de studie op te nemen?

- Verzenden van het geneesmiddel voor onderzoek vanuit de ziekenhuisapotheek rechtstreeks naar het huis van de deelnemer
- Geven van elektronische toestemming voor deelname op afstand aan de studie (met informatie over het onderzoek verstrekt door de onderzoeker via videoconferentie)
- Organiseren van enkele (opvolg)bezoeken op afstand via videoconferentie of telefoon
- Organiseren van enkele toedieningen door een verpleger bij de deelnemer thuis
- Gebruik van digitale hulpmiddelen om bepaalde medische gegevens op afstand en in real-time te verzamelen en de parameters van de deelnemer op afstand te volgen bijv sensors , apple watch,...
- Geen van bovenstaande

Waarom wel/niet?

4. Welke van de onderstaande mogelijkheden zouden volgens u **nadelen** (*aanzetten tot niet deelname, minder therapietrouw, minder diverse populaties in de studie door bepaalde mensen uit te sluiten,...*) met zich mee kunnen brengen voor deelnemers?

- Verzenden van het geneesmiddel voor onderzoek vanuit de ziekenhuisapotheek rechtstreeks naar het huis van de deelnemer
- Geven van elektronische toestemming voor deelname op afstand aan de studie (met informatie over het onderzoek verstrekt door de onderzoeker via videoconferentie)
- Organiseren van enkele (opvolg)bezoeken op afstand via videoconferentie of telefoon
- Organiseren van enkele toedieningen door een verpleger bij de deelnemer thuis
- Gebruik van digitale hulpmiddelen om bepaalde medische gegevens op afstand en in real-time te verzamelen en de parameters van de deelnemer op afstand te volgen bijv sensors , apple watch,...
- Geen van bovenstaande

Waarom?

5. Zijn er volgens u nog andere **voordelen** verbonden aan het plaatsvinden van deze activiteiten buiten het ziekenhuis (*naast bevorderen therapietrouw, motivatie en het aantrekken van een meer diverse populatie*)?

6. Zijn er volgens u mogelijke **nadelen** verbonden aan het plaatsvinden van deze activiteiten buiten het ziekenhuis? Zo ja, welke?

7. Ziet u nog **andere onderzoeksactiviteiten** van een klinische studie die volgens u “gedecentraliseerd” kunnen worden of wilt u nog **opmerkingen** toevoegen aan deze enquête?