

Samenvatting

1. Achtergrond en doelstelling van de onderzoeksstrategie

Neurodegeneratieve ziekten (ND) zijn slepende en veelal onbehandelbare aandoeningen, die sterk gerelateerd zijn aan leeftijd. Onder deze aandoeningen is dementie de veroorzaker van de grootste ziektelast. Ongeveer 7 miljoen mensen in Europa hebben de ziekte van Alzheimer of daaraan gerelateerde aandoeningen. Naar verwachting zal dit aantal elke 20 jaar verdubbelen als gevolg van de vergrijzing van de bevolking. De huidige kosten voor de zorg voor mensen met dementie in Europa liggen rond de €130 miljard per jaar. Dit maakt de aan leeftijd gerelateerde neurodegeneratieve ziekten tot een van de belangrijkste medische en maatschappelijke uitdagingen voor onze samenleving.

Het EU Joint Programme - Neurodegenerative Disease Research (JPND) is een gezamenlijk en innovatief onderzoeksinitiatief, opgezet om de groeiende uitdaging waar neurodegeneratieve aandoeningen ons voor stellen, aan te pakken. De doelen zijn het bevorderen van de impact van onderzoek door het op elkaar afstemmen van en voortborduren op bestaande nationale programma's en het vaststellen van gemeenschappelijke doelen die gebaat kunnen zijn bij de samenwerking. Deze onderzoeksstrategie biedt een kader voor toekomstige investeringen en beschrijft de wijze waarop de Europese onderzoeksinspanningen zo effectief mogelijk kunnen worden gebruikt voor verbetering van preventie, diagnose, behandeling en patiëntenzorg bij deze ernstige aandoeningen.

2. Wetenschappelijke prioriteiten en randvoorwaarden

Wetenschappelijke prioriteiten

Om impact te hebben moeten zowel nieuwe als multidisciplinaire benaderingen gestimuleerd worden. Ook moet de bestaande capaciteit in het gehele onderzoeksspectrum (basaal, klinisch, translatorisch en gericht op gezondheids- en welzijnszorg) versterkt en uitgebreid worden. Voor toekomstig onderzoek is een aantal thematische prioriteiten vastgesteld:

- De oorsprong van neurodegeneratieve ziekten (ND): Meer kennis is nodig over de oorzaken van specifieke ND, de factoren die het risico op en de weerstand tegen het krijgen van de ziekte bepalen, en de omstandigheden die er toe leiden dat iemand ND krijgt. De karakterisering van degenen die hoger risico lopen ND te krijgen, zou uiteindelijk moeten leiden tot preventiestrategieën. Onderzoek hiervoor is noodzakelijk om nieuwe genetische, epigenetische en omgevingsrisicofactoren voor ND bloot te leggen en hun onderlinge beïnvloeding na te gaan. Daarnaast is het nodig om het normale proces van ouder worden beter te begrijpen en om te weten hoe zich dit verhoudt tot het ontwikkelen en voortschrijden van ND. Het identificeren van omgevings- en gedragsfactoren die invloed hebben op deze processen, geeft ook inzicht in de factoren die het risico op en de weerstand tegen deze ziektes bepalen.
- Ziektemechanismen en modellen: Zowel voor de ontwikkeling van nieuwe diagnostische en therapeutische benaderingen, als voor het vaststellen van de juiste momenten voor interventies is een beter begrip van de onderliggende ziektemechanismen nodig. Binnen de verschillende benaderingen die gevolgd kunnen worden, bestaat de behoefte aan cel- en diermodellen die een accurate representatie geven van de belangrijkste elementen van het ziekteproces en waarin ook rekening wordt gehouden met factoren als de voortschrijdende aard van ND, comorbiditeit, geslacht en veroudering. Ook zal moeten worden ingezet op meer kennis over de biologische en omgevingsaspecten die aan de basis liggen van gedrags- en psychologische symptomen bij ND.
- Ziekte-definitie en diagnose: Het gebruikelijke klinische onderzoek is niet voldoende om tegemoet te komen aan de veronderstelde complexiteit van ND. Dit maakt verfijning en actualisering van de huidige diagnostische criteria nodig. De verschillende vormen en subtypes van ND evenals de stadia voordat klinische symptomen ontstaan, vereisen betere definities, terwijl nieuwe of verbeterde diagnostische instrumenten nodig zijn voor vroegere en meer accurate detectie van ND. Nieuwe biomarkers zijn essentieel en kennis hierover zou moeten bijdragen aan het leggen van verbanden tussen onderzoek

met mensen en dieren en zou daarnaast moeten voorzien in referentiekaders voor het voortschrijden van de ziekte, prognoses en de effecten van behandeling. Standaardisatie en harmonisatie van diagnostische instrumenten en onderzoeken zijn essentieel om de vergelijkbaarheid van onderzoeksresultaten en het ondersteunen van vergelijkbare onderzoeken te verzekeren.

- **Behandeling en preventie:** Vooruitgang bij het vaststellen van nieuwe doelen en de ontwikkeling van medicijnen wordt versterkt door het bevorderen van onderlinge verbindingen tussen onderzoeken in dier- en celmodellen en bij mensen. Daarbij kunnen procedures voor de selectie (of stratificatie) van proefpersonen die aan klinisch onderzoek deel gaan nemen een betere kans bieden om de klinische doelmatigheid van nieuwe behandelingen aan te tonen. Ook moet de verdere ontwikkeling van psychosociale interventies bevorderd worden, waarbij ook aandacht moet worden besteed aan de bevordering van sociale inclusie en betrokkenheid van de naasten. Het tot stand brengen van cohorten van patiënten met preklinische ND voorziet in een platform voor het toekomstig onderzoek naar interventies die ND voorkomen of de progressie van het ziekteproces vertragen. Tot slot moeten langere termijn benaderingen worden gevolgd die regeneratieve strategieën bevorderen en die nieuwe systemen ontwikkelen voor de aflevering in en gerichtheid op specifieke delen in de hersenen en het zenuwstelsel van medicijnen en biologische middelen.
- **Gezondheidszorg en welzijn:** Op dit moment is er onvoldoende afstemming tussen gezondheidszorg en welzijnszorg in de verschillende landen. Een evaluatie van de gelijke toegankelijkheid tot zorg en de effectiviteit en kosteneffectiviteit van zorgpaden naar diagnose, behandeling, zorg en ondersteuning voor mensen met ND in Europa is noodzakelijk. Er is een vaststelling nodig van de kritische factoren die invloed hebben op beperkingen en aan gezondheid gerelateerde kwaliteit van leven met ND, inclusief de effecten van comorbiditeit, voeding en kwetsbaarheid en de interactie met familie, verzorgers, de omgeving en gezondheids- en welzijnszorg. Ook moet gekeken worden naar het feit dat de huidige onderbouw van therapeutische strategieën vooral is gebaseerd op intensieve, kortlopende onderzoeken, die niet direct vertaald kunnen worden naar de praktijk van alledag. Hierbij zijn ook betere uitkomstmaten nodig die meer het perspectief van de patiënt en zijn verzorger weergeven. Woon-zorg-technologie kan voorzien in de behoeften van patiënten met ND en hun mantelzorgers in zowel vroege als vroeg-manifeste ziektestadia, waarbij meer nadruk moet worden gelegd op de specifieke last van ND in tegenstelling tot een nadruk op ouder worden in het algemeen. Daarnaast zou meer onderzoek moeten worden gedaan naar palliatieve en terminale zorg, waarin, net als binnen andere onderdelen van ND-onderzoek, het onderzoek naar de complexe ethische aspecten van ND wordt geïntegreerd.

Randvoorwaarden

Om verder te komen met de hiervoor beschreven wetenschappelijke thema's moet aan een aantal randvoorwaarden zijn voldaan:

- **Kennis over onze onderzoekscapaciteit:** Om zowel de lacunes in onderzoek als de kansen die ontstaan door verbeterde coördinatie en investeringen te bepalen zijn op nationaal en Europees niveau de activiteiten rond ND-onderzoek in kaart gebracht. Dit vormt de basis voor een openbare database die het huidige ND-onderzoek binnen Europa onder het voetlicht plaatst en een beter gebruik van middelen en infrastructuur bevordert.
- **Ondersteunende infrastructuur en platforms:** Om te komen tot een gunstig klimaat voor ND-onderzoek is het noodzakelijk om de integratie en afstemming van gegevens en materialen te bevorderen en een 'open access' benadering voor het gebruik daarvan te stimuleren. Gestandaardiseerde richtlijnen, methoden en instrumenten voor gegevensverzameling en -analyse moeten worden gestimuleerd om, bijvoorbeeld, te voorzien in de behoeften van 'high throughput' technologieplatforms en biobanken en beter gebruik te maken van bevolkingscohorten. Beleidslijnen zouden moeten worden herzien om onderzoek binnen de gehele zorg (curatieve, langdurige en welzijnszorg) mogelijk te maken.
- **Samenwerking met het bedrijfsleven:** Veel verschillende commerciële organisaties, variërend van de farmaceutische, diagnostische en biotechnologische sectoren tot zorgaanbieders en aanbieders van (technische) hulpmiddelen houden zich bezig met ND-onderzoek. Verbindingen binnen en tussen de academische en private sectoren zijn essentieel om te komen tot nieuwe benaderingen van

behandeling en zorg. De uitwisseling van gegevens en middelen tussen bedrijfsleven en wetenschap moet worden aangemoedigd.

- Werken met regelgevende instanties: Het bevorderen van een effectieve vertaling van onderzoek naar het patiëntbelang vergt betrokkenheid van en samenwerking met de belangrijkste Europese en nationale regelgevende instanties, zodat de regelgeving voor onderzoekers goed te begrijpen is en in verhouding staat tot de risico's. JPND zou moeten bijdragen aan betere contacten tussen regelgevende instanties en onderzoekers en aan het opzetten van netwerken die kunnen ondersteunen bij onderzoek en kunnen helpen om potentiële knelpunten in een vroeg stadium aan te pakken.
- Internationale samenwerking buiten Europa: De on vervulde klinische behoefte en maatschappelijke impact van ND zijn een wereldwijd probleem en er kunnen zich mogelijkheden voordoen om aan te sluiten bij wereldwijde onderzoeksinspanningen op dit terrein. Dergelijke samenwerking moet strategisch aangestuurd worden en moet duidelijke meerwaarde voor de JPND doelen hebben.
- Capaciteitsopbouw: Bepaalde onderzoeksgebieden hebben te weinig capaciteit en moeten versterkt worden. Daarom moeten netwerken opgezet worden binnen en tussen disciplines en onderzoekers. Daarbij is specifieke inzet nodig om klinische onderzoekers en translationele specialisten te stimuleren en om het aantal ND onderzoekers met expertise in economie van de gezondheidszorg, statistiek, computerondersteund biologisch onderzoek en bio-informatica te verhogen. Om te verzekeren dat hoge kwaliteit in de gezondheids- en welzijnszorg op een bredere basis in heel Europa ontstaat zouden methodologische knooppunten kunnen worden gecreëerd om de ontwikkeling van studies en de evaluatie van interventies, diensten en zorgpaden te ondersteunen.
- Onderwijs en opleiding: De adviezen die patiënten van de verschillende zorg- en welzijnsprofessionals krijgen, moeten gebaseerd zijn op een goed begrip van de aandoening, de specifieke behoeften die een patiënt met deze aandoening heeft en de beschikbare evidence based opties voor behandeling. Dit zal worden bevorderd door onderwijs- en trainingsprogramma's voor (klinisch) onderzoek, die een onderzoekscultuur in de gehele zorg- en welzijnssector zullen verankeren. Daarnaast is het nodig om in het kader van publieke gezondheidszorg het brede publiek te wijzen op de risicofactoren voor het krijgen van ND die verbonden zijn aan een ongezonde levenswijze. Dit moet ondersteund worden door onderzoek naar hoe gedragsverandering op populatieniveau het best bereikt kan worden.
- Aansluiting bij beleidsmakers: JPND zal een kader bieden waarmee de belangrijke aspecten voor beleidsoverwegingen op nationaal niveau worden benadrukt en waarmee het beleid in de verschillende landen makkelijker op elkaar aan zal kunnen sluiten. Twee kwesties in het ND-beleid verdienen speciale aandacht. Ten eerste de implementatie van nieuwe technologieën en praktijken, bij voorbeeld op het gebied van telegezondheidszorg, woon-zorgcombinaties en dienstverlening. Ten tweede het waarborgen van een effectieve implementatie van onderzoeksresultaten in het gezondheidsbeleid.
- Communicatie en voorlichting: Voor een effectieve vertaling in beleid en uitvoering moet de onderzoeksagenda aansluiten bij en een relatie hebben met een breed scala aan sectoren. JPND zal ervoor zorgen dat alle belangengroepen goed geïnformeerd zijn over het lopende ND-onderzoek en de resultaten daarvan, leidend tot vergroting van het bewustzijn en de steun voor ND-onderzoek onder beleidsmakers, patiënten, patiënt- en mantelzorgorganisaties en het brede publiek. Dit zou ook moeten bijdragen aan het op grotere schaal deelnemen aan onderzoek en aan het verminderen van het stigma verbonden aan ND.

3. Levering van de onderzoeksstrategie

De onderzoeksstrategie biedt een kader van mogelijkheden voor landen die deelnemen aan JPND en die bereid zijn aan gezamenlijke initiatieven deel te nemen. Deze zullen worden geïmplementeerd door middel van zowel samenwerkingsactiviteiten die nationale investeringen afstemmen of verbinden om de impact te vergroten, als door het voorzien in nieuwe financieringen. Een leidraad om dit te realiseren is dat alleen onderzoek van wetenschappelijk hoog niveau wordt ondersteund.

4. Samenvatting

JPND is een baanbrekend voorbeeld van 'Joint Programming', een nieuwe en flexibele aanpak die de mogelijkheid biedt om een grote maatschappelijke uitdaging, die niet uitsluitend door nationale programma's kan worden opgelost, aan te pakken. Dit document beschrijft de gemeenschappelijke visie van de 24 betrokken Europese landen en biedt een strategische benadering om onderzoek van wereldklasse te ondersteunen die opkomende wetenschappelijke mogelijkheden ten volle benutten, om obstakels die vooruitgang in de weg staan aan te pakken en om te voorzien in nieuwe benaderingen van preventie, interventie en zorg. De aanbevelingen in de onderzoeksstrategie bestrijken het gehele spectrum van onderzoek en benaderingen die nodig zijn om impact te hebben en onderkennen de belangrijke rol die andere belangengroepen hebben bij de uitvoering van deze agenda. Het uiteindelijke doel is om onderzoek te doen dat kan worden vertaald naar nieuwe interventies die de gezondheid en het welzijn van patiënten met ND en hun naasten verbeteren en die economische en maatschappelijke voordelen opleveren in de gehele EU.