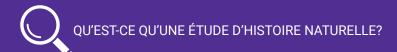
Feuille de route des essais cliniques

ÉTUDES D'HISTOIRE NATURELLE



L'objectif d'une étude d'histoire naturelle est notamment de :

- fournir des renseignements pour aider les chercheurs et les cliniciens à comprendre l'évolution de la maladie au fil du temps (histoire naturelle) et valider les modèles animaux:
- mieux caractériser la maladie:
- caractériser la population de patients et identifier les sous-groupes au sein de la population;
- comprendre les effets quotidiens de la maladie sur la vie des patients et de leurs familles de leur point de vue et de souligner les domaines de besoins médicaux non satisfaits:
- définir les priorités de recherche du point de vue du patient et du point de vue clinique;
- définir des critères diagnostiques;
- élaborer des lignes directrices de soins cliniques;
- identifier les biomarqueurs;
- recueillir les résultats signalés par le patient et d'autres résultats cliniques, qui peuvent être utilisés pour déterminer les mesures des résultats à utiliser dans les essais cliniques;
- accroître la participation et la fidélisation des patients dans les essais cliniques;
- compiler les données du point de vue du patient qui peuvent être utilisées par la FDA dans le cadre de son processus d'examen de la commercialisation:
- rassembler des données pour promouvoir une couverture d'assurance élargie pour les traitements et les services.





RESSOURCES

www.fda.gov/orphan

Le programme de subventions d'histoire naturelle pour les produits orphelins de la FDA est un programme qui finance des études d'histoire naturelle des maladies rares afin de quider le développement de traitements.

www.rarediseases.org l'organisation nationale pour les maladies rares (National Organization of Rare Disorders, NORD)

Entrez en contact avec des personnesressources qui vous aideront en vous orientant dans le cadre de votre parcours.

(1 833 PTC-HOPE (1 833 7<u>82-4673)</u>

✓ InsightfulMoments@ptcbio.com www.ptcinsightfulmoments.com





Qu'est-ce qu'une étude d'histoire naturelle? UNE ÉTUDE OBSERVATIONNELLE VISANT À SUIVRE L'ÉVOLUTION DE LA MALADIE.

Son but est d'identifier les variables démographiques, génétiques, environnementales

et autres qui sont en corrélation avec le développement et les résultats de la maladie. Les renseignements obtenus à partir d'une étude d'histoire naturelle jouent un rôle essentiel à chaque étape du développement du produit, comme l'identification de la population de patients et l'identification ou le développement d'évaluations des résultats cliniques et des biomarqueurs.

En raison du petit nombre de personnes touchées par une maladie rare, il existe des défis particuliers à comprendre la maladie et la mise au point de médicaments pour ces affections. Une façon de mieux comprendre est de réaliser une étude d'histoire naturelle.

Pourquoi participer à une étude d'histoire naturelle?

- Les données d'une étude d'histoire naturelle peuvent :
 - être utilisées dans le cadre de l'examen par la FDA des nouveaux traitements pour les maladies rares, ce qui permet d'obtenir l'approbation réglementaire et de rendre le traitement accessible aux personnes atteintes de la maladie rare;
 - être utilisées comme preuve auprès des décideurs gouvernementaux au moment d'exprimer les besoins des personnes atteintes de maladies rares.
 - Elle contribue à l'élaboration de critères diagnostiques clairs ou de lignes directrices de prise en charge clinique en tenant compte du fardeau pour les patients/aidants.
 - Elle soutient le développement d'essais cliniques en aidant à concevoir de meilleurs critères d'étude.
 - Elle permet de sensibiliser les communautés médicales, universitaires et pharmaceutiques aux maladies.
 - Elle permet d'offrir à votre communauté de patients un nouvel élan et d'accroître l'intérêt pour la participation à la recherche.
 - Les récompenses à long terme comprennent le développement de traitements plus efficaces et plus sécuritaires.
 - La récompense ultime est un remède pour la maladie.

