



# Entscheidungsfindung: Nehme ich an einer klinischen Prüfung teil oder nicht? Welche Fragen sollten gestellt werden?

Veranstaltung: Teilnahme an klinischen Studien – ja oder nein?“  
Wissenswertes und Erfahrungen

28. Januar 2016, Berlin

**Dr. Jutta Bend,**  
jbend@muko.info

Mukoviszidose Institut –  
gemeinnützige Gesellschaft für Forschung und  
Therapieentwicklung mbH



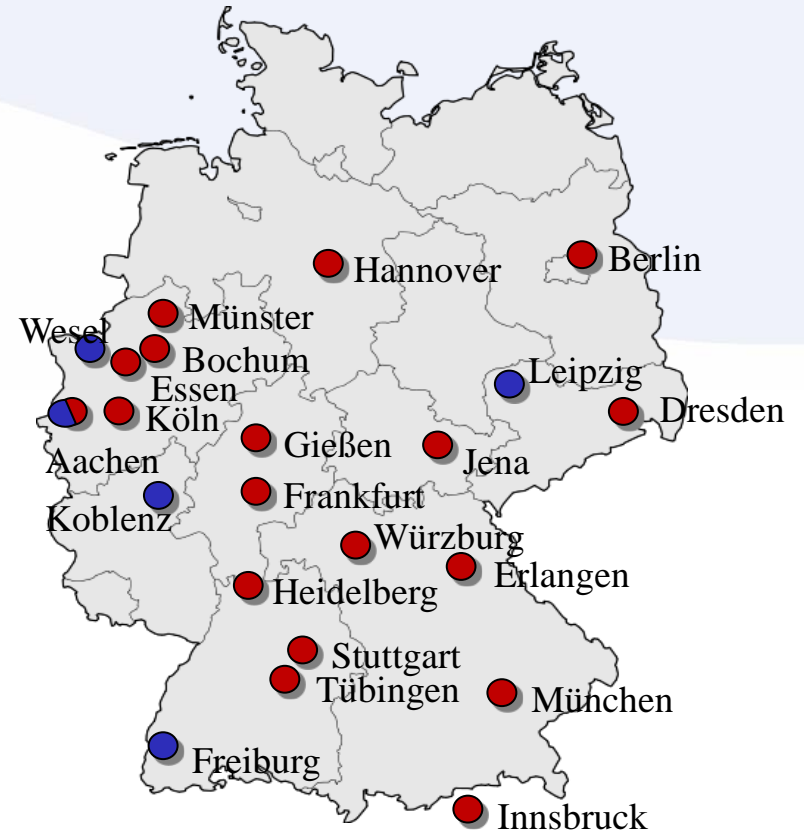
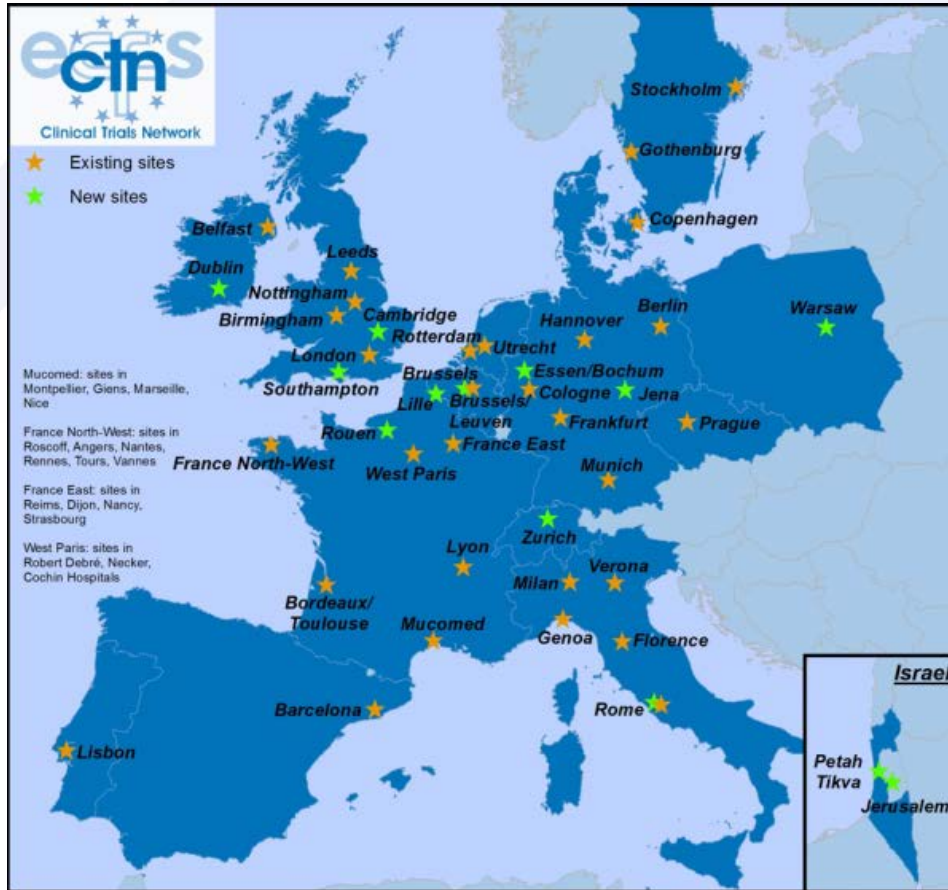
## Mukoviszidose Institut

- 100% Tochter Mukoviszidose e.V.
- NAMSE Geschäftsstelle
- Arbeitsschwerpunkte: Forschungsförderung, **Klinische Studien**, Versorgungsforschung, Qualitätsmanagement, Therapieoptimierung & Information,
  - in der Indikation Mukoviszidose (CF)

=> Erfahrungen aus:

- Sponsor nicht-kommerzieller Studien
- Durchführung Registerstudien
- Studiennetzwerk CF-CTN

# Studiennetzwerke



- Partnerzentrum
- Mitgliedszentrum



## Der Patient übernimmt zunehmend eine aktive Rolle, auch bei klinischen Studien

- Studiennetzwerke:  
**Patientenvertreter** bewerten Studienprotokolle zusätzlich zu klinischer Expertise
- **Laienverständliche Informationen:** Review durch Patientenvertreter
- **Aktive Suche** nach geeigneten Studien



## Wo erhält man Informationen zu aktuellen Studien?

- Beim behandelnden **Arzt**
- In Studienregistern: z.B.
  - **US NIH**: [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)
  - **EMA**: [www.clinicaltrialsregister.eu](http://www.clinicaltrialsregister.eu)
  - **WHO**: [www.who.int /ictrp](http://www.who.int/ictrp)
  - Portal für seltene Erkrankungen/  
Orphan Drugs: [www.orpha.net](http://www.orpha.net)
  - [www.drks.de](http://www.drks.de) (deutschsprachig)
- Krankheitsspezifisch (**Patientenorganisationen**)
  - z.B. Studienliste Mukoviszidose: [www.muko.info/studienliste](http://www.muko.info/studienliste)



# Was sollte man grundsätzlich wissen vor der Entscheidung: Rechte und Pflichten



## Rechte:

- Ausführliche Aufklärung und Information
- Datenschutz
- Versicherung
- Intensive Betreuung durch den Arzt (inkl. sofortige Beendigung der Studie bei Auftreten von schweren NW)
- Jederzeit: Rücknahme der Einwilligungserklärung

## Pflichten:

- Unterzeichnung einer Einverständniserklärung
- Regelmäßige Wahrnehmung der Kontrolltermine
- Weitergabe von persönlichen Daten (unter Einhaltung der Datenschutzbestimmungen)
- Verwendung von Probenmaterial
- Studienspezifische Anforderungen

# Was spricht generell für eine Studienteilnahme?

## Nutzen:

- Intensivere Therapie/ Betreuung
- Chance auf neue oder verbesserte Therapieoption
- Wissenschaftlicher Fortschritt
- Bei Phase I-Studien: Finanzielle Vergütung



## Risiken:

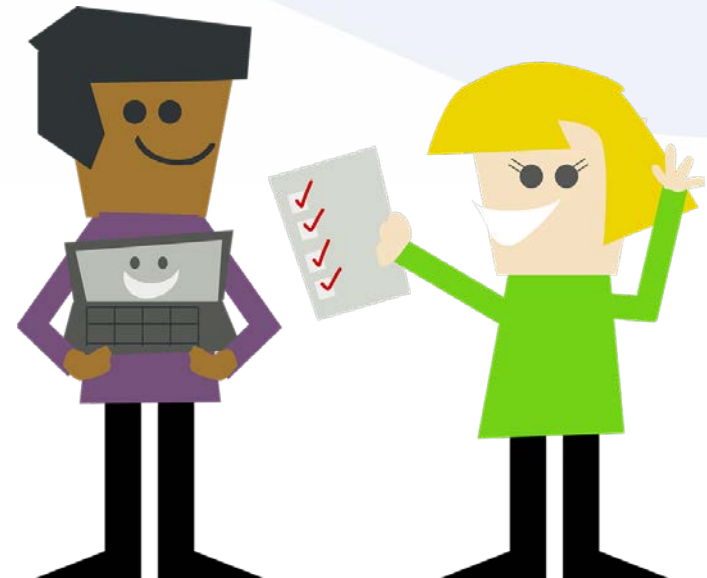
*Deklaration von Helsinki schützt die Studienteilnehmer: Für jede Studie muss eine Nutzen-Risiko-Analyse vorgenommen werden; Ethikkommissionen und Behörden bewerten jedes Studienprojekt; es dürfen nur erfahrene Ärzte Studien durchführen u. a., d.h. **kein unnötiges Risiko***

- Persönlicher Aufwand
- Nebenwirkungen (bei Phase I Studien ist das Risiko höher als bei Phase III Studien oder bei NIV Studien)



# Welche Studie passt zu wem?

- Wer teilnehmen kann wird definiert durch Ein- und Ausschlusskriterien
- Ob ein Patient passt, kann nur der Studienarzt beurteilen – eine Voreinschätzung mit den Informationen zu Ein- und Ausschlusskriterien kann man als informierter Patient selbst vornehmen





Der Studienarzt gibt Informationen zu:

- Zielsetzung und Ablauf der Studie
- Krankheit und Medikament, das getestet werden soll
- erforderliche medizinische Untersuchungen
- Persönliche Risiken
- Erwartete Nebenwirkungen
- Zu erwartende Vorteile
- Derzeitige Standardtherapie
- Kontaktpersonen
- Abbruchkriterien

Bei Fragen:

Prüfstelle/ Studienarzt

Leiter klinische Prüfung

Kontaktstelle bei der zuständigen Bundesoberbehörde



# Mögliche Anforderungen

## Allgemein:

- Vorgaben in Bezug auf Verhütung/ keine Schwangerschaft während der Studie
- Einhalten regelmäßiger Visiten
- Aufwändige/ belastende Untersuchungen
- Regelmäßige Einnahme der Prüfmedikation
- Dokumentation körperlicher Reaktionen (Nebenwirkungen)
- Ausfüllen von Fragebögen
- Führen eines Patiententagebuches

## Studienspezifisch, z.B.:

- Tragen eines Aktivitätsmessers
- Vermeidung von Sonnenlichtexposition
- Logistik Prüfmedikation: was passiert im Urlaub (Transport und Lagerung)?



# Nutzen-Risiko-Verhältnis



**MUKOVISZIDOSE**

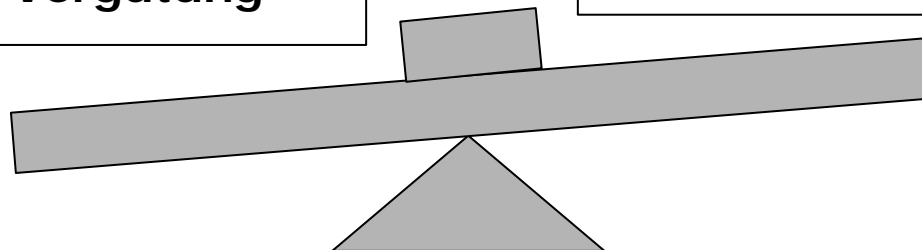
Institut gGmbH

## Pro:

- **Intensivere Therapie/** Betreuung: gilt allgemein
- **Chance auf neue oder verbesserte Therapieoption:** Wie groß ist der potentielle Fortschritt durch die neue Therapieoption?
- **Wissenschaftlicher Fortschritt:** wie ist die Qualität der Studie? Publikation der Ergebnisse?
- Bei Phase I-Studien: **Finanzielle Vergütung**

## Contra:

- **Mögliche Nebenwirkungen** (bei Phase I Studien ist das Risiko höher als bei Phase III Studien oder bei NIV Studien): welches Risiko für NW möchte man eingehen?
- **Persönlicher Aufwand:**
  - Vereinbarkeit mit Beruf?
  - Urlaubs-/ Lebensplanung?
    - Anfahrt zur Klinik
- **Studienspezifische Anforderungen**
  - Belastende Untersuchungen?
  - Bereitstellung von Daten und Proben u.a.



# Zusammenfassung: Fragen für die Entscheidungsfindung



**MUKOVISZIDOSE**

Institut gGmbH

- Bin ich als Patient bereit, die aus einer Studienteilnahme resultierenden Rechte und Pflichten zu akzeptieren?
- Gibt es aktuelle Studien, die zu mir passen?
- Wie groß ist der potentielle wissenschaftliche Fortschritt? Wie ist die Qualität der Studie?
- (Wo) Erhalte ich die Ergebnisse der Studie?
- Wie ist das Nutzen-Risiko-Verhältnis der konkreten Studie?
  - Wie hoch ist das Risiko für Nebenwirkungen (Phase I, II, III, IV)?
  - Wie hoch ist der potentielle persönliche Nutzen?
  - Bei Placebo-kontrollierten Studien: gibt es eine open-label Phase/ compassionate use für alle Studienteilnehmer?
- Ist der Aufwand mit Berufs-/ Lebensplanung vereinbar (Studiendauer)?
- Entstehen Kosten durch die Studienteilnahme?
- Gibt es persönlich inakzeptable studienspezifische Anforderungen (z.B. vorgeschriebene Verhütung, regelmäßige Schwangerschaftstests etc.)?