

# Patientenrelevante Endpunkte aus Sicht der Patienten

---

**Dr. Frank Brunsmann**

PRO RETINA Deutschland e. V.  
ACHSE e.V.

„Teilnahme an klinischen Studien – ja oder nein?“  
ACHSE / vfa, Berlin 26.01.2016

# Frage 1

---

Wo kommt die  
indikationsspezifische  
Patientenselbsthilfe mit  
patientenrelevanten Endpunkten  
in Berührung?

---

# Berührungspunkte (1)

---

## Klinische Studien

- Information potentieller Teilnehmer
  - Allgemeine Information (z.B. Checkliste für Studienteilnahme <http://www.pro-retina.de/forschungsfoerderung/studienteilnahme>)
  - Bericht über Studienergebnisse
  - Empfehlungen
  - ggf. finanzielle Unterstützung der Studie
-

# Berührungspunkte (2)

---

## Gremienbeteiligung u. a. bei:

- Methodenbewertung (GBA / IQWiG), z. B. OCT
  - Nutzenbewertung (GBA / IQWiG), z. B. Ocriplasmin zur Behandlung der VMT
  - Orphan Drug Designation (EMA), z. B. Gentherapie bei Chorioideremie
-

## Frage 2

---

Worüber sollte sich die  
indikationsspezifische  
Patientenselbsthilfe Klarheit  
verschaffen?

---

# Prüfpunkte (1)

---

1. Welche relevanten Endpunkte existieren?
  2. Gibt es einen validierten indikationsspezifischen Fragebogen zur Lebensqualität?
  3. Ist ein aktueller Review zu Endpunkten und ggf. Surrogatparametern verfügbar?
  4. Ist die Validierung weiterer Endpunkte wünschenswert?
-

# Prüfpunkte (2)

---

5. Wird die Relevanz von Endpunkten in der Selbsthilfe ausschließlich individuell erörtert und dargelegt, oder auch kollektiv?
6. Sollte die Selbsthilfe öffentlich Stellung zur Relevanz von Endpunkten beziehen?

Relevant oder nicht relevant?

*Beispiel:*

*Verbesserung der Sehschärfe um 10 bzw. 15 Zeichen*

---

# Prüfpunkte (3)

---

7. Wie hat es sich nach den Entscheidungen bzw. Empfehlungen von damals weiterentwickelt?

*Beispiel:*

*Vitamin A bei seltenen Netzhauterkrankungen*

---



## Frage 3

---

Welche Handlungsmöglichkeiten hat die Selbsthilfe?

---

# Entwicklungspunkte (1)

---

Patientenrelevante Endpunkte als internes Thema der Selbsthilfe etablieren:

- ✓ Referenten einladen
  - ✓ Workshop organisieren
  - ✓ Artikel schreiben
-

# Entwicklungspunkte (2)

---

Prüfen, ob Positionierung möglich und sinnvoll ist bzgl.:

- ✓ Relevanz von Endpunkten
  - ✓ Surrogatparametern
  - ✓ etwaiger Validierungsbedarf
  - ✓ Bedarf an Langzeiterfassung
-

---

**Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit**

**E-Mail: [post@frankbrunsmann.de](mailto:post@frankbrunsmann.de)**

---