

## KLINISCHE STUDIEN: Was muss ich wissen?

- **Klinische Studien dienen dazu, die Wirksamkeit und Sicherheit neuer Verfahren oder Medikamente zu prüfen.**
- **Wie eine Studie methodisch aufgebaut ist, hängt von der zu untersuchenden Fragestellung ab.**
- **Die Prüfung eines neuen Medikaments erfolgt in vier aufeinander folgenden Stufen (Studienphasen).**
- **Die Teilnahme an einer klinischen Studie eröffnet Chancen, birgt aber auch Risiken. Über beides müssen Studienteilnehmer vorab aufgeklärt werden.**
- **Patienten, die an einer Studie teilnehmen, müssen Voraussetzungen erfüllen, die für jede Studie definiert werden (Ein- und Ausschlusskriterien).**



In klinischen Studien wird geprüft, ob neue Verfahren oder Medikamente zur Vorbeugung, Früherkennung, Diagnostik oder Behandlung einer Erkrankung sicher, verträglich und wirksam sind. Was genau geprüft werden soll, also die Fragestellung, bestimmt den Aufbau einer Studie (Studiendesign). Die Aussagekraft einer Studie ist unter anderem vom Studiendesign abhängig. Für den Wirksamkeitsnachweis eines neuen Medikaments sollten Studien möglichst kontrolliert, randomisiert und doppelblind sein.

**Kontrolliert** bedeutet, dass ein neuer Wirkstoff mit einer Kontrollbehandlung verglichen wird; in der Kontrollgruppe kann ein Scheinmedikament (Placebo) oder ein bewährtes Medikament (Therapiestandard) eingesetzt werden.

**Randomisiert** besagt, dass die Zuordnung der Patienten zu den verglichenen Therapien nach dem Zufallsprinzip erfolgt (s. Abb.).

**Doppelblind** ist eine Studie, wenn weder Arzt noch Patient wissen, welcher Teilnehmer was erhält. An mehreren Institutionen durchgeführte Studien nennt man **multizentrisch**. Höchste Aussagekraft für die Beurteilung einer neuen Therapie haben randomisierte kontrollierte Studien oder RCTs (Abkürzung des englischen „Randomized Controlled Trial“).

### KLINISCHE MEDIKAMENTENPRÜFUNG

Die klinische Prüfung eines neuen Wirkstoffs erfolgt in vier aufeinander folgenden **Phasen**. Jede Studie kann einer dieser Phasen zugeordnet werden:

#### → Phase I

##### Ziele der Prüfung einer neuen Substanz

- Erkenntnisse zur Sicherheit und Verträglichkeit
- Verabreichungsform und Dosierung
- Verteilung im Körper
- Aufnahme, Abbau und Ausscheidung

#### **Merkmale der Studie**

- erste Anwendung am Menschen
- etwa 10 bis 30 Testpersonen
- in der Onkologie in der Regel Patienten mit fortgeschrittener Erkrankung

#### → Phase II

##### Ziele der Prüfung einer neuen Substanz

- Dosisfindung
- Wirkung und Verträglichkeit

#### **Merkmale der Studie**

- etwa 30 bis 150 Patienten
- in der Onkologie: bestimmte Tumorerkrankungen

#### → Phase III

##### Ziele der Prüfung einer neuen Substanz

- Wirksamkeitsnachweis
- Vergleich mit Placebo oder bewährter Behandlung (Standardtherapie = die nach dem derzeitigen Wissensstand wirksamste Therapie)

#### **Merkmale der Studie**

- mehrere hundert bis wenige tausend Patienten
- strenge Ein- und Ausschlusskriterien
- meist randomisiert, kontrolliert und multizentrisch
- bei Studien mit neuen Wirkstoffen meist Grundlage für die Zulassung

#### → Phase IV

##### Ziele der Prüfung einer neuen Substanz

- Suche nach seltenen Nebenwirkungen

#### **Merkmale der Studie**

- einige tausend Patienten
- Zulassung ist bereits erfolgt

### → Was ist eine Therapieoptimierungsstudie?

Zur weiteren Verbesserung einer bewährten onkologischen Behandlung werden so genannte Therapieoptimierungsstudien (TOS) durchgeführt. Diese Studien sind randomisiert und kontrolliert, aber meist nicht verblindet. TOS dienen dazu, Behandlungsstrategien zu verbessern. Ziel der Untersuchung kann sein, die Behandlung dem individuellen Rückfallrisiko anzupassen. Oder man prüft bereits zugelassene Arzneimittel unter verschiedenen neuen Bedingungen, etwa in bisher nicht erprobten Kombinationen oder Dosierungen.

### → Welche möglichen Nutzen und Nachteile gibt es bei der Teilnahme an einer klinischen Studie?

Der Arzt hat die Pflicht, Patienten ausführlich über den möglichen Nutzen und mögliche Nachteile aufzuklären. Man spricht von „informed consent“, der Zustimmung auf einer informierten Basis. Der Patient willigt schriftlich ein. Es gibt in Deutschland strenge gesetzliche Vorgaben, um das Risiko für Studienteilnehmer zu begrenzen. Eine Ethikkommission aus unabhängigen Gutachtern entscheidet, ob eine Studie unter medizinischen, rechtlichen und ethischen Gesichtspunkten vertretbar ist. Eine Probandenversicherung sichert Teilnehmer für den Fall einer Gesundheitsschädigung ab.

#### Möglicher Nutzen

- früher Zugang zu neuen Behandlungsmöglichkeiten oder diagnostischen Neuerungen, die möglicherweise Vorteile bringen
- engmaschige, qualitätsgesicherte, ärztliche Überwachung und intensive Betreuung

#### Mögliche Nachteile

- bisher unbekannte Risiken, die eine neue Methode haben kann
- geringere Wirksamkeit (Therapie) oder Treffsicherheit (Diagnostik) einer neuen Methode im Vergleich zur üblichen Vorgehensweise
- Belastung durch häufige und umfangreiche Untersuchungen

### → Wer kann an einer klinischen Studie teilnehmen?

Die Teilnahme an einer Studie ist grundsätzlich freiwillig. Aber nicht jede Studie ist für jeden Patienten geeignet. Klinische Studien verlaufen nach festgelegten Regeln (Studienprotokoll). Darin ist auch vorgegeben, welche Patienten teilnehmen können. Diese sogenannten Ein- und Ausschlusskriterien sind nötig, um die Studien aussagekräftig zu machen und möglichen Schaden für ungeeignete Teilnehmer zu vermeiden. Solche Kriterien können z. B. sein: Tumorart, Erkrankungsstadium, Lebensalter, vorangegangene Behandlungen. Man kann eine Studienteilnahme jederzeit beenden und mit seinen behandelnden Ärzten andere mögliche Behandlungen besprechen.

### FRAGEN VOR DER TEILNAHME AN EINER STUDIE

Erwägen Sie an einer Studie teilzunehmen? Oder hat Ihnen Ihr Arzt die Behandlung in einer Studie vorgeschlagen? Dann fühlen Sie sich frei, jederzeit Fragen zu stellen, die Ihnen einfallen. Sie haben ein Recht auf ausführliche Informationen. Die folgende Auflistung enthält einige Fragen-Beispiele und kann als Anregung für eigene Überlegungen dienen.

#### FRAGEN ZUR STUDIE

- Was ist das Ziel bzw. die Fragestellung der Studie?
- Wie sieht das Studiendesign, d. h. der methodische Aufbau der Studie aus?
- Kann ich die Art der Behandlung frei wählen, oder gibt es eine Zufallsentscheidung?
- Welche Argumente sprechen dafür, dass dieser neue Ansatz von Vorteil sein könnte? Gibt es Voruntersuchungen?
- Welches sind **meine** möglichen Vorteile durch eine Studienteilnahme?
- Welche möglichen Risiken bestehen für mich bei einer Studienteilnahme?
- Welche zusätzlichen Belastungen kommen bei Studienteilnahme auf mich zu, verglichen mit der üblichen Behandlung?
- Entstehen mir durch die Studienteilnahme Kosten, etwa Fahrtkosten zum Studienort?
- Übernimmt meine Krankenkasse die Behandlungskosten innerhalb der Studie?
- Welche Verpflichtungen gehe ich ein, wenn ich an der Studie teilnehme?
- Was geschieht, wenn ich die Therapie in der Studie abbrechen möchte?
- Welche Behandlungsalternativen gibt es in meiner Situation?
- Wer finanziert die Studie?

überreicht durch:



Dieses Informationsblatt dient als Grundlage für Ihre weitere Informationssuche.

Auch der Krebsinformationsdienst (KID) beantwortet Ihre Fragen, telefonisch innerhalb Deutschlands unter der kostenfreien Rufnummer 0 800 - 420 30 40, täglich von 8 bis 20 Uhr, und per E-Mail unter [krebsinformationsdienst@dkfz.de](mailto:krebsinformationsdienst@dkfz.de).

[www.krebsinformationsdienst.de](http://www.krebsinformationsdienst.de)

   Besuchen Sie uns auf Facebook, Instagram und Youtube!

© Krebsinformationsdienst, Deutsches Krebsforschungszentrum, Stand: 15.01.2022, gültig bis 15.01.2024 (Quellen beim KID)