



Warum klinische **Studien** mit **Kindern?**

Eine Informationsbroschüre

NETSTAP



Einen schönen guten Tag, zuerst möchten wir uns kurz vorstellen:

NETSTAP e.V. ist ein gemeinnütziger Zusammenschluss von engagierten Kinderärzten aus Klinik und Praxis in ganz Deutschland. Wir möchten die medizinische Versorgung und die medikamentöse Therapie von Kindern und Jugendlichen besser und sicherer machen.

Durch NETSTAP (das heißt ausgeschrieben: **N**etzwerk Kinder- u. Jugendärzte für klinische **S**tudien in der **A**mbulanten **P**ädiatrie) werden Ärzte und Arzthelferinnen besonders gut für den Umgang mit Kindern und Jugendlichen in klinischen Studien vorbereitet. Wir von NETSTAP machen uns viele Gedanken über sichere und zukunftsweisende Therapieverfahren.

Die meisten Erkrankungen werden heute ambulant behandelt, Klinikaufenthalte werden bei Kindern immer kürzer und seltener. Um die Wirksamkeit und Sicherheit bereits bewährter oder neuer Behandlungsverfahren und Medikamente überprüfen oder vergleichen zu können, muss klinische Forschung auch in unseren Praxen und Ambulanzen stattfinden. Darum sind wir im Interesse von Kindern und Jugendlichen bemüht und bitten um Ihre Mithilfe. Weitere Informationen gibt es auch auf unserer Homepage unter: www.netstap.de.



Liebe Studieninteressierte,

als erster Vorsitzender des gemeinnützigen Vereins NETSTAP freue ich mich, Ihnen und euch unsere neue Info-Broschüre vorstellen zu können. Wir möchten Ihnen/ euch mit diesem kleinen Heftchen einen Überblick geben, was klinische Studien darstellen und wozu sie eigentlich da sind. Wir – das sind inzwischen fast 100 Kinder- und Jugendärzte in ganz Deutschland, die diesem Verein angehören und sich für qualifizierte Studien einsetzen – beantworten Ihnen/ euch hier, warum wir klinische Studien brauchen und stellen sicher, dass Kinder bzw. Jugendliche, die an Studien teilnehmen, nicht unnötigen Untersuchungen ausgesetzt werden.

Ich hoffe, Ihr/ euer Interesse und Verständnis für Studien zu wecken und wünsche viel Spaß beim Lesen,

A handwritten signature in black ink, appearing to read "A. Bufe". The signature is fluid and cursive.

Prof. Dr. med. Albrecht Bufe
Ruhr-Universität-Bochum



Was ist eine klinische Studie?

In einer klinischen Studie prüfen Ärzte und Patienten gemeinsam eine Methode, um eine Krankheit zu erkennen oder zu behandeln. Es kann dabei z. B. um eine neue Operationstechnik, neue Impfstoffe oder die Behandlung mit Medikamenten gehen.

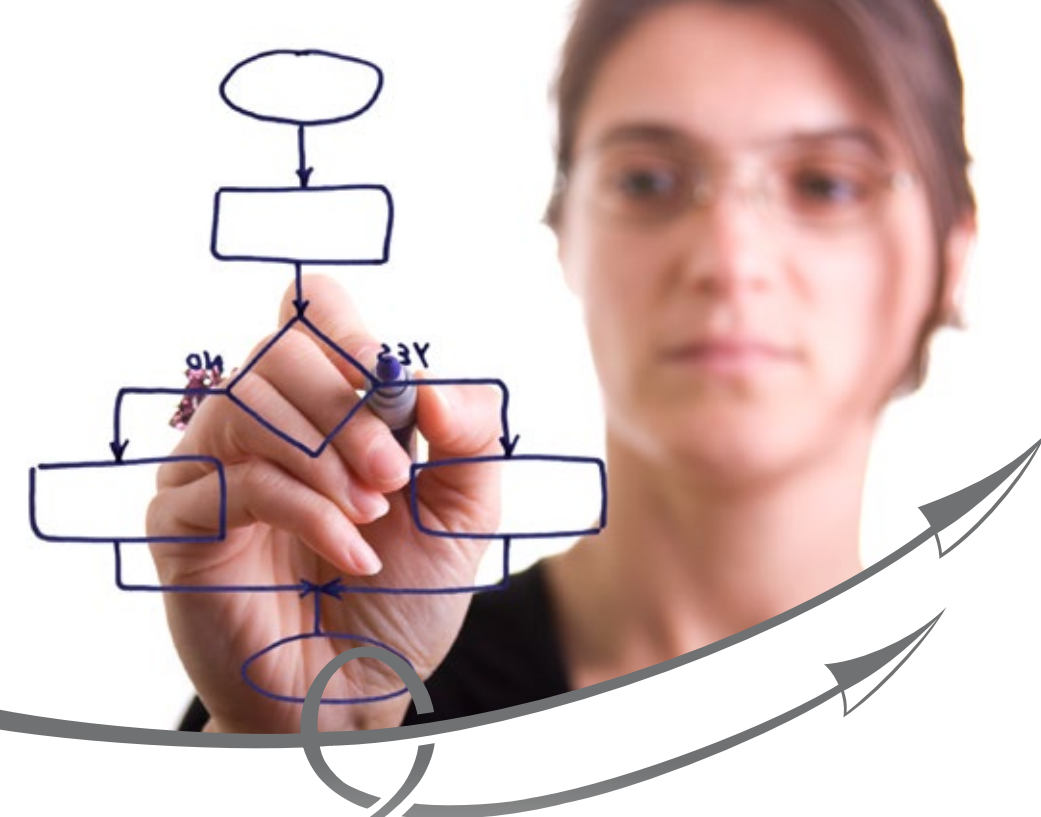
Der Begriff „klinische Studie“ bedeutet nicht, dass die Untersuchung in der Klinik durchgeführt werden muss, sondern dass die Methode am Menschen angewendet wird. Klinische Studien mit z.B. eventuell neuen Medikamenten dürfen erst im

Anschluss an umfangreiche Voruntersuchungen im Labor oder Tierversuch erfolgen, um die größtmögliche Sicherheit für den Studienteilnehmer zu gewährleisten.

Weiterhin muss zum Schutz des Teilnehmers die Studie durch eine unabhängige Ethikkommission genehmigt werden, bei Kindern gelten hier besonders strenge Vorschriften. Alle klinischen Studien werden nach international gültigen Richtlinien durchgeführt, behördlich geprüft und überwacht. Dabei werden anhand von geeigneten Unterlagen noch einmal Wirksamkeit, Unbedenklichkeit und Qualität des Arzneimittels ermittelt. Ebenso interessiert die Qualifikation und Erfahrung der Prüfärzte sowie die Eignung der Klinik oder Arztpraxis (strenge Qualitätskriterien). - Sie sehen: bevor Ihr Arzt Sie überhaupt zu einer klinischen Studie einladen kann, ist diese bereits von mehreren Institutionen kritisch geprüft und genehmigt worden.

Wie ist der Ablauf einer klinischen Studie?

Ein neues Medikament muss 3 Testphasen durchlaufen haben, bevor es in der Apotheke allgemein zur Verfügung stehen kann. Nach der Zulassung zur Anwendung und zum Verkauf werden oft in einer 4. Testphase noch weitere Daten über Wechselwirkungen und Verträglichkeit gesammelt. In diesen insgesamt 4 Testphasen werden also die Wirksamkeit, Dosierung, Sicherheit und Verträglichkeit schrittweise an einer steigenden Anzahl von Studienteilnehmern (Probanden) untersucht. Dabei hat die Sicherheit der Teilnehmer höchste Priorität.



Wie werden klinische Studien durchgeführt?

Studien sollen konkrete Fragen beantworten. Je nach Fragestellung kann der Aufbau einer Studie sehr unterschiedlich sein. Die Schwierigkeit besteht meist darin, die Wirkung eines Medikamentes von anderen Einflüssen abzugrenzen. Die Überzeugungskraft des Arztes, der feste Glaube an das neue Medikament seitens des Teilnehmers, die Schwere der zu behandelnden Krankheit, das Alter, das Geschlecht, die Lebensbedingungen oder einfach Selbstheilungskräfte des Körpers können alle an der Genesung mitwirken.

Um eine Studie also von den genannten Einflüssen so unabhängig wie möglich zu machen, müssen mehrere Schritte bei der Gestaltung einer Studie eingehalten werden:

Zunächst werden mindestens zwei Behandlungsgruppen gebildet. Die eine Gruppe erhält die neue Behandlung (z.B. das neue Arzneimittel), während die andere Gruppe zum Vergleich (Kontrollgruppe) eine bereits erprobte Behandlung bekommt.

Um die Studienteilnehmer jetzt gleich und frei von den oben genannten Einflüssen auf beide Gruppen verteilen zu können, werden die Probanden zunächst alle nach gleichen Kriterien ausgesucht (sogenannte Ein- und Ausschlusskriterien) und dann durch Losverfahren (Randomisierung) zufällig den Gruppen zugeordnet. Damit werden die Studiengruppen unabhängig und in etwa gleichmäßig durchmisch.

Ein weiterer Weg, Störfaktoren auszuschließen kann durch VERBLINDUNG erreicht werden. Verblindung bedeutet, dass es für den Patienten nicht ersichtlich ist, welche der beiden Behandlungen ihm verabreicht wird.

In einer „einfach verblindeten“ Studie wird nur dem Patienten nicht mitgeteilt, welcher Behandlungsgruppe er angehört. In einer „doppelt verblindeten“ Studie kennt auch der behandelnde Arzt (der NETSTAP-Prüfarzt) die Zuordnung nicht. Damit kann auch er persönlich weder bewusst noch unbewusst die Studie beeinflussen. Wenn keine bewährte Behandlungsmethode zur Verfügung steht oder man wissen möchte, ob die neue Behandlung überhaupt wirkt, kann man der Kontrollgruppe ein Scheinmedikament, das

sogenannte PLACEBO verabreichen. Placebos enthalten alle Zusatzstoffe eines Medikaments außer dem Wirkstoff und sind damit nach den Regeln der Naturwissenschaft nicht wirksam.

Zusammengenommen spricht man jetzt von einer randomisierten, doppelblind-placebo-kontrollierten klinischen Studie. Jetzt wird klar, warum nicht alle Patienten einer Studie die gleiche Behandlung erhalten. Nicht jeder Patient wird das neue Medikament bekommen können, von dem er sich vielleicht die bestmögliche Behandlung erhofft.

Durch all diese Verfahren wird die Aussagekraft einer Studie deutlich erhöht. Erst nach der Studiauswertung werden die Ärzte und Patienten informiert, welche Behandlung durchgeführt wurde.

Warum sind Studien mit Kindern notwendig?

Oft bekommen Kinder Arzneimittel, die nur für Erwachsene geprüft und zugelassen sind. Dies ist eine unbefriedigende Notlösung, denn Kinder sind keine kleinen Erwachsenen, bei denen man einfach die Dosis vermindern kann. Je jünger ein Kind ist, um so mehr unterscheiden sich die Reaktionen auf das Arzneimittel von denen des Erwachsenen. Zusätzlich kommen bestimmte Erkrankungen nur im Kindesalter vor bzw. haben einen anderen Verlauf. Außerdem müssen die Arzneimittel kindgerecht zubereitet werden (Säfte, Geschmack, Zäpfchen usw.). Aus diesen Gründen ist es unbedingt erforderlich, dass alle Arzneimittel für Kinder auch speziell bei Kindern der entsprechenden Altersgruppe ausführlich geprüft werden. Dies ist sogar gemäß dem neuen deutschen Arzneimittelrecht vorgeschrieben.



Wie wird das Kind bei klinischen Studien geschützt?

Der Schutz der Studienpatienten wird durch zahlreiche Gesetze und Vorschriften, die von allen Beteiligten jederzeit strengstens befolgt werden müssen, sichergestellt.

Bei Kindern und Jugendlichen unter 18 Jahren gelten für Studien zusätzliche Schutzbestimmungen. So müssen die Belastungen von kranken Minderjährigen so gering wie möglich sein. Wenn ein Kind alt genug ist, um zu verstehen, was eine klinische Studie ist, muss es altersgerecht aufgeklärt werden.

Ihr NETSTAP-Arzt wird auch während der Studie immer die Sicherheit Ihres Kindes im Auge behalten und kann jederzeit in Erfahrung bringen, welcher Behandlungsgruppe Ihr Kind zugeordnet ist, wenn dies für die Gesundheit Ihres Kindes wichtig ist. Durch diese vorzeitige Entblindung sind die im Rahmen der Studie bei Ihrem Kind erhobenen Daten nur eingeschränkt für die Studie verwertbar.

Wer darf an einer Studie teilnehmen?

Im Studienprotokoll ist jeweils festgelegt, welche persönlichen Merkmale (z.B. Alter, Geschlecht, Art und Schwere der Erkrankung) ein Kind bei der Aufnahme in eine Studie mitbringen muss. Nur wenn diese zuvor festgelegten Einschlusskriterien erfüllt sind, kann ein Kind an der Studie teilnehmen. Es gibt aber auch Ausschlusskriterien (z.B. Vorerkrankungen, auffällige Laborwerte, Medikamenteneinnahme), die eine Studienteilnahme nicht erlauben.

Worauf sollten Sie achten?

Wenn Sie und Ihr Kind Interesse an einer klinischen Studie haben, bekommen Sie von dem Prüfarzt eine Patienteninformationsschrift, die über die einzelne Studie genau informiert. Zusätzlich wird der Prüfarzt ausführlich mit Ihnen über die Studie sprechen. Wenn Sie etwas nicht verstanden haben, scheuen Sie sich nicht, bei Ihrem NETSTAP-Arzt nachzufragen, so lange, bis alles klar ist.

Denn wenn Sie sich entschließen, an einer klinischen Studie teilzunehmen, sollten Sie:

- z.B. die Einnahmenvorschriften kennen
- alle Fragen nach dem Befinden offen und wahrheitsgemäß beantworten
- Veränderungen, die Sie an ihrem Kind bemerken, sofort dem Arzt mitteilen, auch wenn dieser nicht direkt danach fragt
- Fragebögen und Kalender, die Ihnen mitgegeben wurden, vollständig und genau führen
- alles so machen, wie der Arzt es Ihnen gesagt hat, dies ist für die Sicherheit Ihres Kindes und die Auswertung der Ergebnisse sehr wichtig.

Wichtig: Studienteilnehmer haben jederzeit und ohne Angabe von Gründen die Möglichkeit, eine klinische Studie abzubrechen. Durch die erforderliche Unterschrift zu Beginn der Studie bestätigen Sie lediglich, dass Sie sich über die Studie ausreichend informiert sehen und geben Ihr grundsätzliches Einverständnis. Kommen Ihnen im Verlauf der Studie Zweifel an der Teilnahme, sollten Sie diese zunächst offen mit Ihrem NETSTAP-Prüfarzt besprechen. Möchten Sie nicht weiter an der Studie teilnehmen, wird er Ihnen mitteilen, ob Sie einfach z.B. mit der Medikamentengabe aufhören können oder welches Ersatzmedikament zu empfehlen ist.



Wie ist das Kind versichert?

Im Rahmen einer klinischen Studie wird extra eine Teilnehmer-Versicherung von dem Initiator (meist Arzneimittelhersteller) der Studie abgeschlossen. Dazu besteht eine gesetzliche Verpflichtung. Damit soll eine Entschädigung gewährleistet sein, falls ein Teilnehmer im Verlauf einer Studie oder in der Nachbeobachtungszeit wider Erwarten trotz aller Vorsichtsmaßnahmen eine durch die Studie bedingte gesundheitliche Schädigung erleidet.

Welche Vorteile haben Sie durch die klinische Studie?

Die Patienten erfahren während der Studie eine ausgezeichnete medizinische Betreuung:

- in bestimmten Zeitabständen erfolgen zusätzliche ärztliche Untersuchungen,
- möglicherweise auch mit zusätzlichen kostenlosen Laboruntersuchungen
- der Arzt kann sich mehr Zeit für das Kind nehmen als im Routinealltag
- Ihr Kind wird evtl. schon früher als andere mit einem Medikament behandelt, das den neuesten medizinischen Erkenntnissen entspricht.

Es ist uns wichtig, dass Sie verstehen, warum wir im Interesse von Kindern und Jugendlichen immer wieder Studien in dieser Altersklasse durchführen müssen. Diese Untersuchungen werden mit hohem Aufwand und besonderer Vorsicht durchgeführt. Wir wollen damit für unsere Kinder und Jugendlichen gesicherte und zukunftsweisende Behandlungen ermöglichen und treten dafür ein, nur solche Untersuchungen zu bearbeiten, die für konkrete Alltagsfragestellungen notwendig sind. Es ist uns auch wichtig zu verdeutlichen, dass wir bei diesen Studien auf das Verständnis und die Mitarbeit von Eltern und Kindern angewiesen sind.

Wir hoffen, Ihnen mit diesem Info-Heft einige Antworten gegeben zu haben. Bei weiteren Fragen können Sie sich jederzeit an Ihren NETSTAP-Kinderarzt oder an unsere Zentrale wenden:

NETSTAP e.V.
z. Hd. Eike Stöckmann

Nedderste Kamp 7
21256 Handeloh

Tel: 0 41 88 - 444 34 58

Fax: 0 41 88 - 444 34 65

Email: estoeckmann-netstap@uminfo.de

www.netstap.de

Impressum

Warum klinische Studien mit Kindern: Eine Informationsbroschüre | © NETSTAP 2010

Herausgeber:

Netzwerk Kinder- u. Jugendärzte für klinische Studien in der Ambulanten Pädiatrie e.V.
(NETSTAP e.V.)

Geschäftsführerin: Frau Eike Stöckmann

Nedderste Kamp 7 | 21256 Handeloh
Telefon: 0 41 88 / 444 34 58 | Fax: 0 41 88 / 444 34 65

www.netstap.de |

Registergericht: Amtsgericht Bad Segeberg | Registernummer: 854
NETSTAP ist als gemeinnützig anerkannt.

Konzept, Umsetzung und Produktion:

Kirbach Design | Corporate Design für die Medizin
Hymendorfer Str. 9 | 27607 Langen
www.kirbach-design.de | info@kirbach-design.de

Bildnachweis:

Seite 1: © shutterstock.com; Dmitriy Shironosov | Seite 3 © Prof. Dr. med. Albrecht Bufe | Seite 4:
© istockphoto.com; Darren Baker Photography | Seite 6: © istockphoto.com; Helder Almeida |
Seite 9: © istockphoto.com; tslwwe | Seite 12: © istockphoto.com; Monkey Business Images

Nachdruck, auch auszugsweise, nur mit schriftlicher Genehmigung des Herausgebers.

Warum klinische **Studien** mit **Kindern?**



Was ist eine klinische Studie?

Wie werden sie durchgeführt?

Warum sind Studien für Kinder notwendig?

Wie wird das Kind geschützt?

Auf diese und weitere Fragen möchten wir, das Netzwerk Kinder- u. Jugendärzte für klinische Studien in der Ambulanten Pädiatrie, Ihnen Antworten geben.

In dieser Broschüre wird erläutert was die Teilnahme an einer klinischen Studie für Kinder und Eltern bedeutet.