



Kinder und Jugendliche in klinischen Studien

Inhalt

Was ist eine klinische Studie?	2
Was hat mein Kind von einer Studienteilnahme?	3
Wie wird ein Medikament für Kinder und Jugendliche entwickelt?	4
Die Sicherheit und minimale Belastung der Teilnehmer haben Vorrang	9
Warum in einer Studie nicht alle gleich behandelt werden	12
So laufen klinische Studien ab	15
Datenschutz	20
So werden Studien veröffentlicht	21
Genetische Begleituntersuchungen	22
Wie finde ich selbst eine Studie?	24
Wer beantwortet weitere Fragen?	25
Merkblatt: Fragen, die Sie dem Arzt vielleicht stellen wollen	26
Impressum	29



Liebe Leserin, lieber Leser,

Ihr Kind ist in medizinischer Behandlung und Sie denken darüber nach, ob es an einer klinischen Studie teilnehmen sollte, in der ein Medikament erprobt wird. Vielleicht hat Ihnen der behandelnde Arzt das vorgeschlagen. Für Sie ist das sicherlich keine einfache Entscheidung; denn nun fragen Sie sich, was bei einer klinischen Studie anders ist als bei einer normalen Behandlung und ob Ihr Kind als Studienteilnehmer besonderen Risiken ausgesetzt ist.

Auf diese Aspekte geht diese Broschüre ein. Sie erklärt die Chancen und Risiken und erläutert die generellen gesetzlichen Anforderungen an Medikamenten-Studien und die zusätzlichen Schutzbestimmungen speziell für Studien mit Minderjährigen.

Diese Broschüre kann dabei nur allgemein informieren. Sie kann und will die detaillierten Informationen über eine ganz bestimmte Studie ebenso wenig ersetzen wie das direkte, vertrauensvolle Gespräch mit dem behandelnden Arzt. Aber sie ist Ihnen vielleicht eine Hilfe und Vorbereitung dafür.

Cornelia Yzer

Hauptgeschäftsführerin des vfa



Was ist eine klinische Studie?

Bei einer klinischen Studie erproben Ärzte zusammen mit Patienten eine Methode, eine Krankheit zu erkennen, zu behandeln oder ihr vorzubeugen. Die Methode kann beispielsweise ein neues Röntgenverfahren oder eine Operationstechnik sein. Oder es kann um eine neuartige Behandlung mit Medikamenten oder eine Impfung gehen; davon handelt diese Broschüre.

Man nennt die Studien auch „klinische Prüfungen“. Eine Klinik, ein Krankenhaus oder eine Praxis, in der eine klinische Studie stattfindet, heißt deshalb auch „Prüfzentrum“, und die mitwirkenden Ärzte heißen „Prüfärzte“ oder „Prüfer“.

Häufig ist ein Pharma-Unternehmen der Auftraggeber. Aber auch Universitäten oder Kliniken können klinische Studien veranlassen. Der Auftraggeber einer Studie wird auch „Sponsor der Studie“ genannt. Wenn Sie sich für eine bestimmte Studie interessieren, kann Ihnen ein Arzt sagen, wer sie veranlasst hat.

Was hat mein Kind von einer Studienteilnahme?

Was in einer Arzneimittel-Studie herausgefunden wird, soll die Behandlung einer Krankheit oder den Schutz vor ihr verbessern – sei es durch ein neues Medikament oder sei es durch eine bessere Anwendung schon bekannter Medikamente. Allerdings ist dafür in aller Regel mehr als eine Studie erforderlich (siehe Seite 4–8). Deshalb kann man nicht davon ausgehen, dass bereits kurz nach Studienabschluss für jeden Teilnehmer eine neue, bessere Therapie zur Verfügung steht – basierend auf den Studienergebnissen. Viel mehr dauert es bis dahin in der Regel noch viele Monate bis Jahre, in denen möglicherweise noch weitere Studien zum gleichen Medikament durchgeführt werden und die Arzneimittelbehörden die neue Therapie prüfen und zulassen. Es kann also bedeuten, dass erst andere Kinder oder Jugendliche, die später an der gleichen Krankheiten erkranken, den Nutzen von den jetzt ermittelten Studienergebnissen haben werden. Es kann aber auch sein, dass Ihr Kind selbst schon einen Nutzen von den Ergebnissen hat.

In jedem Fall kommen einem Studienteilnehmer folgende Punkte zugute:

- Studienteilnehmer können in der Regel gründlicher untersucht und das Ansprechen der Therapie genauer verfolgt werden, als das bei einer normalen Behandlung der Fall ist. Dabei werden unter Umständen Dinge erkannt, die sich für die Behandlung als hilfreich erweisen, die aber im Routinefall übersehen worden wären.
- Die Behandlung erfolgt entweder mit einem aussichtsreichen und bei Erwachsenen schon bewährten neuen Präparat oder mit der besten zugelassenen Therapie (die das Ergebnis früherer Studien ist).

Das lässt sich zugunsten der Entscheidung für eine Teilnahme in die Waagschale werfen. Aber natürlich gibt es auch gute Gründe, den Arzt lieber um eine Behandlung außerhalb einer Studie zu bitten.

Die nachfolgenden Kapitel sollen Ihnen weitere Aspekte ausführlicher erläutern.

Wie wird ein Medikament für Kinder und Jugendliche entwickelt?

Es gibt unterschiedliche Arten von Medikamenten-Studien, und nur ein Teil wird mit Kindern oder Jugendlichen durchgeführt, während für andere ausschließlich erwachsene Teilnehmer in Betracht kommen. Das wird deutlich, wenn man sich anschaut, in welchen Schritten ein neues Medikament entwickelt und erprobt wird:

Ein neues Medikament wird im Labor erfunden. Danach wird es intensiv mit Laborversuchen, Zellkulturen und danach Tieren getestet. Nur, wenn es sich dort bewährt hat (sich also als wirksam und nicht als giftig erwiesen hat, wenn es keine Erbgutschädigungen oder Krebs hervorgerufen und auch keine anderen Probleme verursacht hat), darf es weiter erprobt werden.

Im nächsten Schritt testen gesunde, erwachsene Freiwillige das Medikament in klinischen Studien der **Phase I**. Dabei ist noch keine heilende oder lindern-
de Wirkung zu sehen (die Freiwilligen sind ja gesund); aber es zeigt sich, wie der Wirkstoff des Medikaments durch den Körper wandert, wie schnell er wieder ausgeschieden wird und ob er gut vertragen wird. An diesen Studien nehmen im Normalfall keine Kinder und Jugendlichen teil.

Studien mit erwachsenen Patienten

Hat sich das Medikament bei gesunden Freiwilligen bewährt, folgen Studien mit Patienten, die sich freiwillig zur Mitwirkung bereit erklären. In diesen Studien zeigt sich dann, ob das Medikament auch wirkt.



Studien in Deutschland

Jährlich finden in Deutschland rund 1.300 klinische Studien statt. An rund 150 davon wirken auch oder ausschließlich Kinder und Jugendliche mit.

In der Regel nehmen an diesen Studien zunächst nur erwachsene Patienten teil: erst einmal rund 100 bis 500 (in der **Phase II**), in den abschließenden Studien (in der **Phase III**) dann viele Hundert oder sogar mehrere Tausend. Die Patienten werden nicht alle im gleichen Krankenhaus oder der gleichen Praxis behandelt, sondern in vielen verschiedenen.

Bei diesen Studien achten die Ärzte auf die Wirkung des Medikaments und darauf, ob es die Patienten gut vertragen und welche Dosis für ihre Behandlung die beste ist.

Verläuft auch die Phase III gut, kann der Hersteller für die Behandlung von Erwachsenen mit dem Medikament die Zulassung beantragen. Lassen es die Behörden nach Prüfung aller Unterlagen schließlich zu, kann es von Ärzten verordnet und von den Krankenkassen erstattet werden.

Erprobung mit minderjährigen Patienten

In der Regel eignen sich Wirkstoffe, die sich bei Erwachsenen bewährt haben, auch zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen. Eine sichere Anwendung kann aber nur gewährleistet werden, wenn sie auch mit Patienten dieser Altersgruppen erprobt wurden. Gründe dafür liegen im Stoffwechsel und im Körperbau, die sich im Verlauf der Kindheit und Jugend erheblich verändern; und deshalb muss die beste Medikamentenmenge (Dosis) für jede Altersgruppe untersucht werden. Aus diesen Gründen genügt es für die Behandlung von Minderjährigen nicht, dass ein Medikament mit Erwachsenen erprobt wurde und man seine Dosis nun herunterrechnet. Vielmehr sind eigene Studien mit jüngeren Patienten erforderlich. Dies wird auch von der europäischen Verordnung für Kinderarzneimittel von 2007 verlangt.

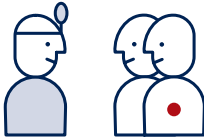
Wann mit diesen Studien begonnen wird, ist unterschiedlich: Ein Medikament kann frühestens dann mit minderjährigen Patienten erprobt werden, wenn die Phase-I-Studien mit gesunden Erwachsenen mit gutem Ergebnis abgeschlossen wurden. Meist werden aber dafür die Ergebnisse der Phase-II-Studien, manchmal sogar die der Phase-III-Studien mit Erwachsenen abgewartet.

Die Erprobung eines Medikaments mit Minderjährigen läuft dann ähnlich ab wie bei den Erwachsenen: Wieder werden in verschiedenen Krankenhäusern, Kliniken oder Arztpraxen Patienten gesucht, die freiwillig teilnehmen. Wieder

So werden neue Medikamente für Erwachsene und Kinder entwickelt

Die Entwicklung eines neuen Medikaments verläuft über viele Stationen. Von der Idee bis zur ersten Zulassung dauert es in der Regel rund 12 Jahre; und weitere Jahre vergehen, bis es auch für alle Altersgruppen zur Verfügung steht, für die es sich eignet.

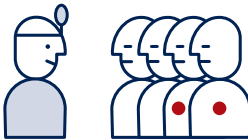
4



Phase I: Studien mit wenigen gesunden Erwachsenen

Nun wird der Wirkstoff mit gesunden erwachsenen Freiwilligen erprobt: Wie wandert er durch den Körper? Ab welcher Dosis gibt es Nebenwirkungen?

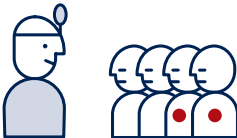
8



Phase III: Studien mit vielen kranken Erwachsenen

Ärzte in vielen Ländern erproben das Medikament mit meist mehreren tausend erwachsenen Patienten – ähnlich wie in Phase II. Auch weniger häufige Nebenwirkungen werden hier erkennbar.

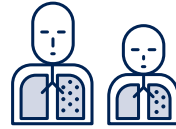
12



Phase III: Studien mit vielen kranken Kindern

Ärzte in vielen Ländern erproben das Medikament mit meist mehreren hundert, manchmal tausenden kranken Kindern – ähnlich wie in Phase II. Auch weniger häufige Nebenwirkungen werden hier erkennbar.

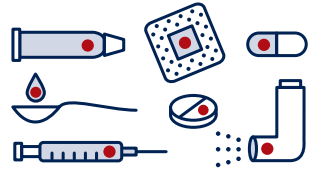
1



Fokus Krankheit

Am Anfang steht die Entscheidung, für Patienten, die an einer bisher nicht gut behandelbaren Krankheit leiden, ein neues Medikament zu entwickeln.

5



Entwicklung der Darreichungsform

Aus dem Wirkstoff wird – passend zum Anwendungsgebiet – ein Medikament entwickelt: z.B. eine Tablette, Kapsel, Salbe, Trink- oder Injektionslösung, Spray oder Wirkstoffpflaster.

9



Begutachtung durch die Zulassungsbehörden

Experten der Zulassungsbehörden prüfen die Ergebnisse aller Labor- und Tierversuche und Studien. Sie kontrollieren auch die technische Qualität (u.a. Reinheit) des Medikaments. Fällt diese Prüfung positiv aus, erteilen sie die Zulassung.

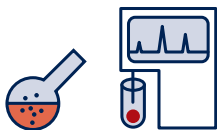
13



Begutachtung durch die Zulassungsbehörden

Wieder begutachten Experten der Zulassungsbehörden die Studienergebnisse des Medikaments. Fällt diese Prüfung positiv aus, erteilen sie die Zulassung auch für den Einsatz bei Kindern.

2



Erfinden von Wirkstoffkandidaten

Pharmaforscher erfinden Substanzen, die in das Krankheitsgeschehen eingreifen, so dass sie die Krankheit vielleicht lindern oder heilen können.

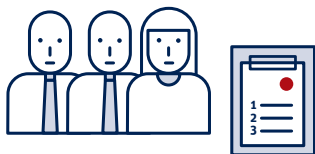
3



Test auf Wirkung und Verträglichkeit

Sie testen die besten Substanzen mit Zellkulturen und Tieren darauf, dass sie wirksam und nicht giftig oder anderweitig schädlich sind. Was sich bewährt, kann Wirkstoff eines Medikaments werden.

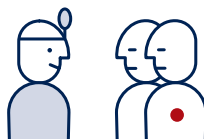
6



Festlegung des Kinderstudienplans

Die Zulassungsbehörde legt fest, für Kinder welchen Alters das Medikament auch erprobt werden soll. Die Kinder-Studien sollen oft erst nach den Studien mit Erwachsenen beginnen (siehe Bild 11), manchmal aber auch fast zeitgleich.

7



Phase II: Studien mit wenigen kranken Erwachsenen

Typischerweise 100 bis 500 erwachsene Patienten, alles Freiwillige, erhalten entweder das neue Medikament oder eine Vergleichsbehandlung. Die Ärzte untersuchen Wirksamkeit, Verträglichkeit und Dosierung.

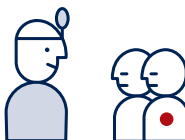
10



Entwicklung einer kindgerechten Darreichungsform

Ist die Darreichungsform nur für Erwachsene geeignet, wird eine kindgerechte entwickelt: z.B. ein Granulat, eine Minitablette oder eine Trinklösung.

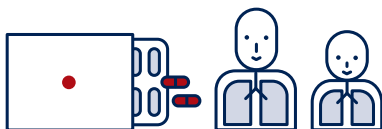
11



Phase II: Studien mit wenigen kranken Kindern

Das Medikament wird nun mit wenigen kranken Kindern aus den vorgesehenen Altersgruppen erprobt. Es werden Wirksamkeit, Verträglichkeit und Dosierung für Kinder geprüft.

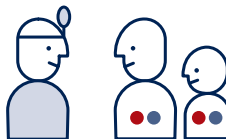
14



Anwendung, Beobachtung

Ärzte, Behörden und Hersteller achten darauf, wie sich das Medikament bei Erwachsenen und Kindern bewährt. Treten neue, seltene Nebenwirkungen auf? Die Packungsbeilage wird laufend aktualisiert.

15



Phase IV: Studien nach der Zulassung

Das Medikament wird in weiteren Studien erprobt, z.B. um zu sehen, wie es mit anderen Mitteln zusammenwirkt. Kommt es für eine weitere Krankheit in Betracht, beginnen neue Phase-II-Studien.

gibt es erst Studien mit wenigen Teilnehmern (Phase II) und dann Studien mit vielen Teilnehmern (Phase III). Kinder erhalten das Medikament aber meist in anderer Menge (Dosis); und kleine Patienten bekommen es in der Regel in einer anderen Form als ältere: Tabletten beispielsweise eignen sich für Erwachsene, Jugendliche und Schulkinder, aber nicht für Kleinkinder. Für diese Patienten wird dann z.B. eine Trinklösung entwickelt.

Normalerweise können Kinder und Jugendliche an einer Medikamenten-Studie nur teilnehmen, wenn sie ohnehin eine medizinische Behandlung benötigen. Gesunde Kinder kommen lediglich dann als Teilnehmer in Betracht, wenn ein Impfstoff oder ein anderes Mittel zur Krankheitsvorbeugung oder für eine Vorsorgeuntersuchung getestet werden soll, von dem sie selbst etwas haben.

Werden die Studien der Phasen II und III mit Minderjährigen schließlich mit guten Ergebnissen abgeschlossen, erhält das Medikament von den Arzneimittelbehörden die Zulassung für die untersuchten Altersgruppen.

Studien nach der Zulassung

Auch nach der Zulassung werden mit einem Medikament Studien durchgeführt. Es wird beispielsweise geprüft, ob sich das Medikament sinnvoll mit anderen Mitteln kombinieren lässt. Studien mit zugelassenen Medikamenten heißen Studien der **Phase IV**.

Die größte Studie mit Kindern

An der Phase-III-Studie mit der höchsten Patientenzahl aller Zeiten waren 68.038 Kinder beteiligt. Sie erprobten einen Impfstoff gegen Rotaviren, die Durchfall verursachen.

Schluckimpfung
gegen Rotaviren





Die Sicherheit und minimale Belastung der Teilnehmer haben Vorrang

Bei jeder klinischen Studie ist die Sicherheit der Studienteilnehmer wichtiger als alles andere.

So dürfen überhaupt nur Medikamente in Studien getestet werden, die sich zuvor in vielen Tests im Labor und mit Tieren bewährt haben. Auch muss jede Studie in Deutschland einzeln genehmigt werden, und zwar entweder vom **Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM)** in Bonn oder vom **Paul-Ehrlich-Institut (PEI)** in Langen bei Frankfurt am Main. Beide Behörden unterstehen dem Gesundheitsministerium.

Vor den meisten Studien mit Kindern hat auch eine Kommission der **Europäischen Arzneimittelagentur EMA** geprüft und ausdrücklich festgestellt, dass gute Aussichten bestehen, dass das Mittel bei Kindern einen Fortschritt für die Behandlung bringt.

Außerdem muss jeder Studie eine Ethik-Kommission zustimmen. Darin beraten Ärzte, Patientenvertreter, medizinische Laien, Juristen und andere miteinander über die Studie. Die Ethik-Kommission gibt nur dann ihr Einverständnis für die Durchführung einer Studie, wenn sie daran nichts zu beanstanden hat und zum Ergebnis gekommen ist, dass der Nutzen dieser Studie ein mögliches Risiko für die Studienteilnehmer überwiegt. Sie überprüft auch, ob die vorgesehenen medizinischen Einrichtungen für die Studie geeignet sind und ihre Ärzte über die nötigen Kenntnisse und Erfahrung verfügen.



Damit Behörden und Ethik-Kommission ihre Entscheidung treffen können, muss der Auftraggeber der Studie neben vielen anderen Unterlagen den sogenannten Prüfplan vorlegen: Darin steht, wie die Patienten in der Studie behandelt werden sollen und wie für ihre Sicherheit gesorgt wird.

Eine Studie mit minderjährigen Patienten muss so geplant sein, dass jede vermeidbare Belastung der Teilnehmer unterlassen wird. Das bedeutet beispielsweise, dass Untersuchungen nicht öfter durchgeführt werden, als zwingend nötig. Das Abnehmen von Blutproben soll ganz vermieden werden, wenn es einen weniger belastenden Ersatz dafür gibt, etwa das Sammeln von Urin- oder Speichelproben. Nicht immer taugen aber Alternativen, so dass in besonderen Fällen doch eine Blutabnahme notwendig sein kann. Dann wird aber die Einstichstelle zuvor mit einem speziellen schmerzstillenden Pflaster betäubt, so dass der Einstich kaum zu spüren ist. Der Arzt wird Ihrem Kind alles genau erklären, um ihm so die Angst zu nehmen.

Nur nach sehr guten
Laboregebnissen darf
ein Medikament in
Studien getestet werden.

Der Auftraggeber der Studie muss zudem belegen, dass das zu testende Medikament auch einwandfrei hergestellt wurde. Dafür muss er die Ergebnisse aller vorangegangenen Labor- und Tierexperimente und klinischen Studien mit dem Medikament darstellen.

Sie sehen: Ehe die Ärzte überhaupt fragen konnten, ob Ihr Kind an der Studie teilnehmen soll, ist diese Studie schon von mehreren Einrichtungen kritisch geprüft und für medizinisch wie ethisch einwandfrei befunden worden.

Während der Studie

Während die klinische Studie läuft, lassen sich die Behörden und die Ethik-Kommission über deren Fortgang berichten. Träten z.B. bei einigen Patienten ernste Nebenwirkungen auf, würden sie gegebenenfalls sofort die Studie abbrechen lassen. In anderen Fällen entscheiden sie, dass alle Studienteilnehmer und ihre Eltern über die Ereignisse informiert werden, damit sie selbst entscheiden können, ob sie weiter mitmachen oder – wie auch sonst jederzeit möglich – ihre Teilnahme beenden.

Das Arzneimittelgesetz schreibt dem Auftraggeber einer klinischen Studie vor, eine **Patientenversicherung** abzuschließen. Damit ist eine Entschädigung gesichert, falls ein Patient während einer Studie oder in der Nachbeobachtungszeit trotz aller Vorsichtsmaßnahmen einen durch die Studie bedingten Schaden an seiner Gesundheit erleidet. So etwas ist bislang aber äußerst selten vorgekommen. Über Einzelheiten wie die Höhe der Versicherungssumme und die Ansprechpartner informiert Sie gerne der Prüfarzt.

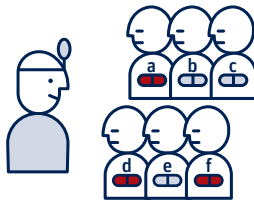
Warum in einer Studie nicht alle gleich behandelt werden

Ärzte und Wissenschaftler wollen am Ende einer Studie stets wissen, welchen Beitrag zur Linderung, Genesung oder Vorbeugung das zu prüfende Medikament tatsächlich geleistet hat – und nicht die Ärzte, die Schwestern oder die Selbstheilungskräfte des Körpers. Dafür ist es nötig, bei Studien zu vergleichen und teilweise „verdeckt“ zu arbeiten:

Bei einer sogenannten **zweiarmigen** Studie wird nicht nur eine Behandlung getestet, sondern es werden zwei Behandlungen verglichen. Dafür werden die teilnehmenden Patienten in zwei Behandlungsgruppen aufgeteilt. Die eine erhält beispielsweise das neue Medikament, die andere ein bewährtes älteres. Manchmal werden sogar drei oder mehr Behandlungen verglichen.

Bei einer **randomisierten** Studie entscheidet das Los, welcher Studienteilnehmer zu welcher Behandlungsgruppe gehört. Durch diese zufällige Verteilung soll sichergestellt werden, dass nicht etwa alle „gesünderen“ in einer Gruppe und alle „kränkeren“ in der anderen Gruppe sind.

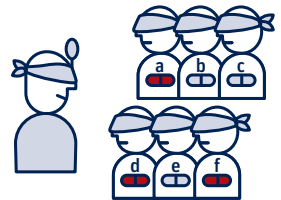
Das Prinzip von randomisierten klinischen Studien



A1

Randomisierte Studie

In diesem Beispiel wird eine neue Behandlung (rote Kapsel) mit einer anderen (graue Kapsel) verglichen. Nach dem Zufallsprinzip (randomisiert) wurde entschieden, wer von den Teilnehmern die neue Behandlung erhält und wer die Vergleichsbehandlung.



A2

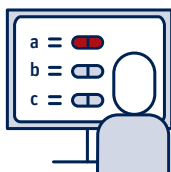
Randomisierte Doppelblind-Studie

Auch in diesem Beispiel wird die neue Behandlung mit einer anderen verglichen. Doch diesmal wissen weder der behandelnde Arzt noch die Patienten, wer welche Behandlung erhält.





Vielleicht kennen Sie das Sprichwort: „Der Glaube versetzt Berge“. Auch bei Medikamenten gibt es diesen Effekt: Patienten glauben an die positive Wirkung eines neuen Medikaments, und schon wirkt es besser! Damit eine solche Erwartungshaltung nicht das Ergebnis schönfärbt, wird den Teilnehmern und ihren Angehörigen bei einer **verblindeten** Studie nicht mitgeteilt, welcher Gruppe sie tatsächlich angehören – ob sie also das neue Medikament erhalten oder die Vergleichsbehandlung. Erst nach Abschluss und Auswertung der Studie wird das auf Nachfrage mitgeteilt.

Eine Verblindung wäre natürlich leicht zu durchschauen, wenn Patienten in verschiedenen Behandlungsgruppen unterschiedlich aussehende Medikamente oder unterschiedlich viele Medikamente bekommen. Deshalb wird in verblindeten Studien dafür gesorgt, dass die Patienten beider Gruppen gleich viele und gleich aussehende Medikamente einnehmen. Wenn nötig, werden für die Vergleichsgruppe Scheinmedikamente ohne Wirkstoff hergestellt, sogenannte **Placebos**.

Auch Ärzte können unbewusst Einfluss auf das Studienergebnis nehmen. Beispielsweise könnten sie sich um die Teilnehmer mit dem neuen Medikament intensiver kümmern als um die anderen Teilnehmer. Um das auszuschließen, werden sogenannte **Doppelblind-Studien** durchgeführt.



Das weiß nur ein anderer Arzt oder Wissenschaftler, der die Studie beobachtet, ohne selbst Patienten zu behandeln. So eine Studie heißt „doppelblind“.

				
	+		+	-
	+		+	-
	+	+ -	+	-
	+	+ -	+ -	+ -
	+ -	+ -	+ -	+ -
B	Wirksamkeit		Verträglichkeit	

Auswertung der Studie

Die Behandlungsprotokolle aller Patienten werden „entblindet“ und ausgewertet. Im Beispiel hat das neue Medikament (rot) häufiger Patienten geheilt und seltener Nebenwirkungen hervorgerufen als das Vergleichsmedikament (grau).

Dabei wissen weder die Studienteilnehmer noch der Arzt, zu welcher Behandlungsgruppe sie gehören. Der Arzt behandelt sie mit Medikamenten, die mit einer individuellen Codenummer gekennzeichnet sind. Erst bei der Studienauswertung erfahren dann der Arzt und die Beteiligten, zu welcher Gruppe sie gehörten.

Alle diese Möglichkeiten lassen sich kombinieren. So sind viele Studien mehrarmige, randomisierte Doppelblind-Studien.

Der britische Arzt
Dr. James Lind



Die erste mehrarmige Studie

Die vermutlich erste mehrarmige Studie der Geschichte (sogar gleich eine sechsarmige!) führte 1753 der britische Arzt Dr. James Lind durch. Er wollte etwas finden, was die Seeleute vor dem gefürchteten Skorbut bewahrt. Diese Krankheit trat oft auf langen Seereisen auf und ging mit Entzündungen im Mund, Blutungen und Schwäche einher, oft mit tödlichem Ausgang.

Dr. Lind teilte zwölf erkrankte Matrosen in Gruppen à zwei Personen ein, die als Nahrungsergänzung Apfelwein, stark verdünnte Schwefelsäure, Essig, Meerwasser, eine Spüllösung für den Gaumen oder Zitrusfrüchte erhielten. Das Ergebnis: Nur die Matrosen der letzten Gruppe zeigten baldige Genesung, die anderen nicht. Heute weiß man, warum: Skorbut ist nichts anderes als ein massiver Mangel an Vitamin C, und Zitrusfrüchte enthalten viel davon.



So laufen klinische Studien ab

Das Muster, nach dem eine Studie mit Kindern und Jugendlichen abläuft, ist immer das gleiche:

Haben die Eltern Interesse an einer bestimmten Studie geäußert, erhalten sie zuerst vom Prüfarzt eine Patienteninformationsschrift. Diese informiert ausführlich über das Ziel und den vorgesehenen Ablauf der klinischen Studie. Sie spricht die Vorteile und Risiken an, die mit der Teilnahme verbunden sind; ebenso zu erwartende Unannehmlichkeiten und vorhersehbare Nebenwirkungen. Sie erklärt auch, wie man die Krankheit heute mit zugelassenen Methoden behandeln würde, damit Sie wissen, was die Alternative zur Studienteilnahme ist. Der Versicherungsschutz, der Datenschutz und viele weitere Punkte werden ebenfalls behandelt.

Sie sollten die Informationsschrift in Ruhe lesen und alle Ihre Fragen notieren. Danach spricht der Arzt persönlich mit Ihnen über die Studie und beantwortet Ihre Fragen.

Ebenso erhält Ihr Kind eine altersgerechte Aufklärung über die Studie. Wie diese erfolgt, hängt sehr vom Alter und der geistigen Entwicklung Ihres Kindes ab. Bei Kindern ab 7 Jahren erfolgt sie in der Regel in Form einer schriftlichen Patienteninformation und einem anschließenden Gespräch mit dem behandelnden Arzt. Dieses Gespräch findet zusammen mit den Eltern, auf Wunsch aber auch ohne sie statt. Die schriftlichen Patienteninformationen sind dabei je nach Alter des Kindes/Jugendlichen zur besseren Verständlichkeit mit Schaubildern versehen. Bei Kindern unter 7 Jahren erfolgt meist ein Gespräch mit dem Arzt, der dem Kind erklärt, was passieren soll.

Der Arzt muss auch über andere Behandlungsmöglichkeiten außerhalb der Studie informieren und erläutern, wie er behandeln kann, falls die in der klinischen Studie vorgesehene Behandlung nicht anschlägt.

Zu den Gesprächen mit dem Arzt kann immer auch eine Person Ihres Vertrauens mitkommen.

Nach dem Gespräch – und auf Wunsch weiteren Gesprächen – haben Sie und Ihr Kind Zeit, sich für oder gegen die Teilnahme an der Studie zu entscheiden. Dabei können Sie auch Angehörige, Freunde oder andere Personen einbeziehen.

Angenommen, Sie entscheiden sich für die Teilnahme. Dann braucht der Arzt – so ist es vorgeschrieben – dafür das **schriftliche Einverständnis beider Eltern**. Zudem muss er die **Zustimmung Ihres Kindes** einholen, wenn er davon ausgehen kann, dass dieses reif genug ist, um die Bedeutung einer Studienteilnahme einzuschätzen. Wenn Ihr Kind in diesem Fall einer Teilnahme selbst nicht zustimmt, dann wird es auch nicht in die Studie einbezogen, selbst wenn beide Eltern eine Studienbeteiligung wünschen. Auch im umgekehrten Fall – Ihr Kind wünscht eine Beteiligung, ein Elternteil lehnt das strikt ab – könnte Ihr Kind nicht teilnehmen.

Das Einverständnis beider Eltern für die Teilnahme ist nötig, solange beide das Sorgerecht für das Kind haben. Das gilt auch dann, wenn Sie geschieden sind oder getrennt leben. Dann sollten Sie trotzdem beide im Interesse Ihres Kindes rasch zu einer Entscheidung finden, auch wenn das vielleicht nicht leicht fällt.

Die Einwilligung zur Teilnahme erfolgt schriftlich. Damit legen Sie den behandelnden Arzt zugleich darauf fest, was er im Rahmen der Studie mit Ihrem Kind tun darf und was nicht. Die Einwilligungserklärung dient also der Wahrung Ihrer Rechte und der Ihres Kindes. **Die Einwilligung können Sie im Übrigen jederzeit und ohne Begründung wieder zurückziehen!**

Mit einer Einschlussuntersuchung überprüft ein Arzt sodann, ob Ihr Kind wirklich teilnehmen kann. Insbesondere prüft er, ob Ihr Kind tatsächlich genau an der Art von Erkrankung leidet, die untersucht werden soll, und ob



Kann ein Kind verstehen, was eine klinische Studie bedeutet, ist auch seine Zustimmung Bedingung für die Teilnahme.

keine weiteren Erkrankungen vorliegen, die ein Teilnehmer nicht haben darf. Das dient dazu, das Risiko für jeden Teilnehmer möglichst gering zu halten.

In der Regel wird bei einer jugendlichen Teilnehmerin ein Schwangerschaftstest durchgeführt; und sie wird dazu angehalten, während der Studie im Falle von Geschlechtsverkehr zuverlässige Verhütungsmittel einzusetzen. Wenn ein Arzt dies verlangt, denkt er nicht, dass eine Teilnehmerin tatsächlich Geschlechtsverkehr hatte oder hat. Diese Maßnahmen dienen allein dazu, jedes Risiko in dieser Richtung für die Teilnehmerinnen auszuschließen.

Auch Jungen werden ab einem bestimmten Alter dazu angehalten, für die Zeit der Studie im Falle von Geschlechtsverkehr Kondome zu verwenden. Auch dies ist eine reine Vorsichtsmaßnahme ohne jede Unterstellung zur Lebensführung.

Dann beginnt für Ihr Kind die Teilnahme an der Studie. Die Einnahme der Medikamente wird genau angeleitet und beobachtet. Bei manchen Studien wird mit ihm zusammen eine Art Patiententagebuch geführt, in dem der Einnahmezeitpunkt und eventuelle körperliche Reaktionen festgehalten werden.

Im Verlauf der Studie wird Ihr Kind in vorgesehenen Abständen untersucht. Nur wenn die Anwendung der Medikamente insgesamt zufrieden stellend verläuft, wird der Arzt damit bis zum vorgesehenen Studienende fortfahren, sonst wird er die Studienteilnahme vorzeitig beenden.

In einer Abschlussuntersuchung nach Ende der Behandlungszeit wird der Arzt Ihr Kind nochmals gründlich untersuchen. Die gesundheitliche Verfassung wird genau erfasst und mit der zu Beginn der Studie verglichen.



Eine Teilnehmerin lässt sich die Ergebnisse vom Arzt erklären.

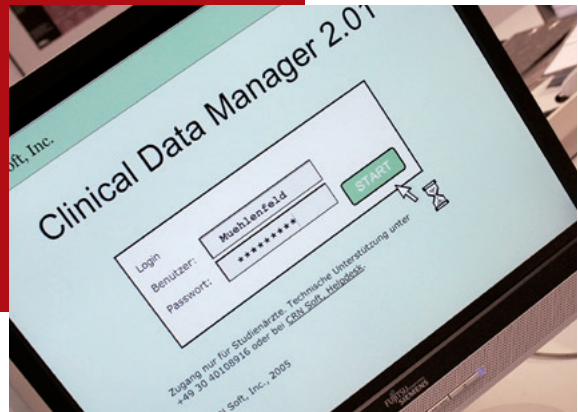


Die Studienteilnahme beenden

Möchten Sie oder Ihr Kind nicht länger an der Studie teilnehmen, **können Sie die Einwilligungen ohne Angabe von Gründen widerrufen**. Wichtig ist, dass Sie das dem Arzt auch sofort sagen und Ihr Kind nicht einfach aufhört, die Medikamente einzunehmen. Der Arzt darf einem Widerruf nicht widersprechen und muss ab dann wieder bestmöglich mit herkömmlichen Medikamenten behandeln. **Ihrem Kind und Ihnen darf aus dem Studienabbruch kein Nachteil entstehen**. Wichtig: Ihr Kind sollte in jedem Fall unbedingt an der Abschlussuntersuchung teilnehmen. Denn dabei wird der Gesundheitszustand festgestellt, und der Versicherungsschutz aus der Studienteilnahme bleibt gewahrt.

Abschließend wird jeder Teilnehmer noch einmal umfassend untersucht. Die Ergebnisse werden in der Patientenakte festgehalten.

Der Zugang zu den Daten einzelner Teilnehmer ist streng reglementiert.



Datenschutz

Der Arzt legt über die Behandlung während der Studie eine Akte an. Darin stehen alle Ergebnisse der Eingangs-, Zwischen- und Abschlussuntersuchungen und natürlich, wie genau behandelt wurde. Anders als bei einer gewöhnlichen Behandlung ist es bei einer Studie aber nötig, dass ein Teil dieser Akte weitergegeben wird. Dies erfolgt stets so, dass niemand außer dem behandelnden Arzt erkennen kann, von wem die Daten stammen. Nur wenige dürfen diese Daten überhaupt sehen:

- der behandelnde Arzt,
- der Auftraggeber der klinischen Studie, damit er sie für alle Patienten zusammen auswerten kann,
- die zuständige Überwachungsbehörde,
- die Behörde, die die Studie genehmigt hat – also das BfArM oder das PEI (siehe Seite 9)

Für die Aufbewahrung der Daten gelten strenge Datenschutzbestimmungen. Alle an der Studie beteiligten Personen sowie die Behörden unterliegen – wie behandelnde Ärzte und Pflegekräfte ohnehin – der Schweigepflicht und dürfen die Daten nicht an unbeteiligte Dritte weitergeben.

So werden Studien veröffentlicht

Am Ende der Studie werden die Behandlungsakten aller Teilnehmer zusammen ausgewertet. Die auswertenden Wissenschaftler können dabei nicht erkennen, von welchen Patienten die Akten stammen. Sie sehen nur, welche Akten von Patienten stammen, die das zu untersuchende Medikament erhalten haben, und welche Akten von Patienten aus der Vergleichsgruppe kommen.

Bei der Auswertung zeigt sich, ob die verglichenen Behandlungen im Durchschnitt gleichwertig waren oder ob eine davon häufiger ein besseres Ergebnis erzielt hat. Auch sieht man, ob bestimmte Nebenwirkungen bei der einen Behandlung häufiger oder stärker auftraten als bei der anderen.

Forschende Pharma-Unternehmen haben sich verpflichtet, **die Ergebnisse jeder von ihnen beauftragten Patientenstudie zu veröffentlichen**, wenn das erprobte Präparat zugelassen wird. Für Studien mit größeren Patientengruppen (sogenannte Phase-III-Studien) verlangt dies obendrein das Gesetz.

Die Studienergebnisse werden im Internet und oft zusätzlich in einem Artikel in einer medizinischen Zeitschrift veröffentlicht. Dabei werden die Ergebnisse zusammengefasst; die Daten einzelner Patienten kommen darin nicht vor. Also kann auch niemand lesen, wie die Behandlung Ihres Kindes verlief.

Wenn Sie oder Ihr Kind wissen wollen, was bei „Ihrer“ Studie herausgekommen ist, wenden Sie sich am besten an den Prüfarzt. Bedenken Sie allerdings, **dass es in der Regel viele Monate dauert, bis die Ergebnisse einer Studie veröffentlicht sind; manchmal sogar Jahre**, wenn die Studie über einen Zeitraum von mehreren Jahren angelegt ist.

Zu manchen Medikamenten sind mehr als 10.000 Artikel in medizinischen Büchern und Zeitschriften veröffentlicht worden.



Genetische Begleituntersuchungen

Jeder Mensch ist einzigartig – auch in seiner Reaktion auf Medikamente. Ob jemand ein bestimmtes Präparat verträgt und wie gut es wirkt, hängt deshalb nicht allein vom Medikament ab, sondern auch von der Lebensweise, vom Alter und von den Erbanlagen – den Genen.

Deshalb werden heute oft bei klinischen Studien auch Genanalysen – manchmal auch „pharmakogenetische Analysen“ genannt – durchgeführt. Ihr Ziel ist es herauszufinden, ob man an einem bestimmten Gen schon vorab erkennen kann, ob jemand ein Medikament verträgt, ob es bei ihm oder ihr wirksam ist und wie man es dosieren muss.

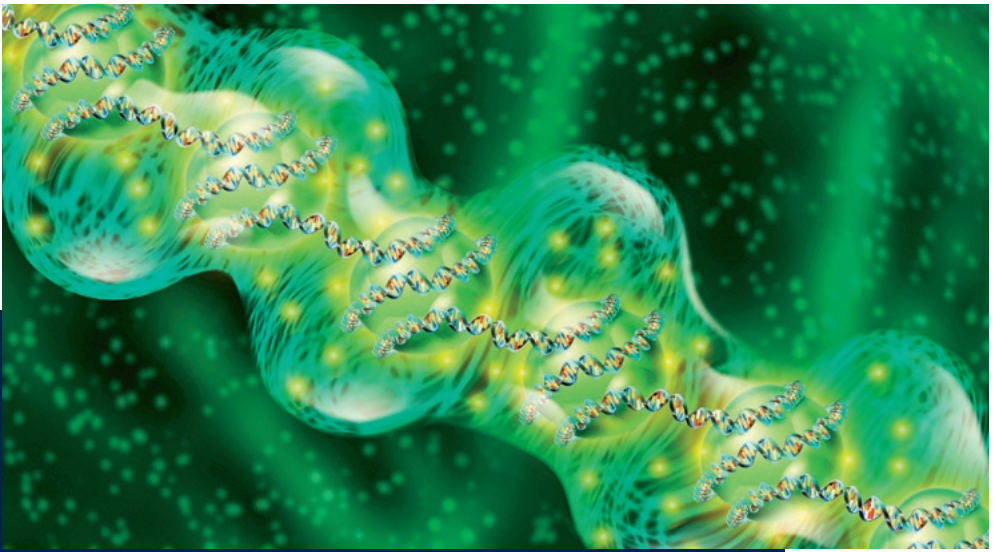
Einwilligung und Datenschutz

Wenn es bei einer Studie genetische Begleituntersuchungen gibt, dann gilt: Nur die Eltern und das Kind selbst bestimmen, ob Gene des Kindes analysiert werden dürfen oder nicht. Es ist auch möglich, an der eigentlichen Studie teilzunehmen, aber keine Einwilligung zu den genetischen Begleituntersuchungen zu geben.

Genutzt werden dürfen die genetischen Daten nur zu Forschungszwecken, denen Sie und Ihr Kind zugestimmt haben und nur von denjenigen, denen Sie das gestatten. Auch hier haben Sie das Recht, jederzeit Ihre Einwilligung zurückzunehmen.

Die Zulassungsbehörden sind berechtigt, auch die Daten der Begleituntersuchungen einzusehen, um die Sicherheit der an einer klinischen Studie teilnehmenden Patienten und die Qualität der zu entwickelnden Medikamente zu gewährleisten. Auch in diesem Fall gilt aber die uneingeschränkte Vertraulichkeit individueller Daten.

Die Daten und Proben werden – in anonymisierter Form – für einen Zeitraum von mindestens 15 Jahren nach Abschluss der geplanten Analysen gemäß den gesetzlichen Bestimmungen des Datenschutzes sicher verwahrt. Danach werden die Daten und Proben entweder vernichtet oder weiterhin sicher verwahrt.



Das Erbmolekül DNA (bunter Faden) in einer Zelle. Es enthält die Gene, von denen einige mitbestimmen, wie ein Mensch auf Medikamente reagiert.

So laufen genetische Untersuchungen ab

Genetische Untersuchungen lassen sich an einem Mundschleimhautabstrich durchführen, was für den Patienten kaum zusätzliche Belastung bedeutet.

Am Ende der Studie untersuchen die Wissenschaftler anhand der Akten aller Teilnehmer, ob die Patienten, bei denen das Medikament gut wirkt oder die es gut vertragen, eine Gemeinsamkeit in der Beschaffenheit eines bestimmten Gens aufweisen. Wenn ja – so die Überlegung – dann kann man durch Untersuchung dieses Gens bei einem Patienten abschätzen, ob das Medikament in seinem Falle sinnvoll verordnet werden kann.

Lässt sich tatsächlich ein solcher Zusammenhang finden, dann wird auf dieser Grundlage ein Gentest für die Praxis entwickelt. Patienten, bei denen der Gentest negativ ausfällt, können dann von vornherein mit einem anderen Medikament behandelt werden.

Auf diese Weise kann die Einwilligung zu genetischen Untersuchungen dazu beitragen, dass künftig viele Kinder und Jugendliche schneller eine genau für sie passende, eine „personalisierte“ Behandlung erhalten.

Wie finde ich selbst eine Studie?

In der Regel wird der Hinweis auf eine Studie von dem Arzt kommen, der Ihr Kind behandelt. Aber Sie können natürlich auch selbst die Initiative ergreifen und nach einer Studie suchen, in der eine neue Behandlung für die Krankheit Ihres Kindes erprobt wird. Dafür können Sie den behandelnden Arzt ansprechen oder auch eine Patientenorganisation, die sich mit dieser Krankheit beschäftigt. Arzt und Organisation können Ihnen helfen zu erfahren, ob und wo Kliniken oder Arztpraxen an Studien mitwirken.

Sie können aber auch die Studien-Suchmaschine des Weltpharmaverbandes unter www.ifma.org/clinicaltrials nutzen. Wenn Ihnen dort eine Studie auffällt, fragen Sie am besten den Arzt, wie er es fände, wenn Ihr Kind daran teilnehmen würde.

Gehen Sie keinesfalls darauf ein, wenn jemand anbietet, Ihr Kind gegen Gebühr in eine Studie zu vermitteln! Für solche Gebühren gibt es keine Berechtigung.



Eine spezielle Suchmaschine im Internet hilft bei der Studiensuche.

Wer beantwortet weitere Fragen?

Diese Broschüre kann klinische Studien nur allgemein darstellen. Für weitere Fragen sollten Sie sich an einen Arzt wenden. Für das Gespräch mit ihm hier noch ein paar Empfehlungen:

- Notieren Sie sich alle Fragen, die Sie und Ihr Kind nach dem Durchlesen der Patienteninformation noch haben.
- Vereinbaren Sie mit dem behandelnden Arzt einen Gesprächstermin, damit das Gespräch nicht zwischen Tür und Angel stattfindet.
- Wenn Sie wollen, können Sie eine Person Ihres Vertrauens zu diesem Gespräch mitbringen.
- Legen Sie sich Papier und Stift bereit, um wichtige Informationen während des Gesprächs zu notieren.
- Fragen Sie sofort nach, falls Sie etwas nicht verstehen, was der Arzt gesagt hat. Es ist Ihr Recht, alles verständlich erläutert zu bekommen. Das gilt natürlich auch für Ihr Kind.
- Besprechen Sie am besten alles zuhause in Ruhe, und nehmen Sie Fragen oder Unsicherheiten Ihres Sohnes oder Ihrer Tochter auf. Gerade jüngere Kinder trauen sich manchmal nicht, den Arzt direkt etwas zu fragen.

Weitere Ansprechpartner finden Sie bei folgenden Einrichtungen:

- beim Auftraggeber der Studie – wer das ist und wen Sie dort kontaktieren können, steht im Aufklärungsschreiben zur Studie.
- bei den für jedermann eingerichteten Kontaktstellen zu klinischen Studien beim Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) in Bonn (Tel.: 0228/207 4320) und beim Paul-Ehrlich-Institut (PEI) in Langen bei Frankfurt a. M. (Tel.: 06103/77 18 10).
- bei Patientenorganisationen, die sich mit der Krankheit Ihres Kindes beschäftigen.

Merkblatt: Fragen, die Sie dem Arzt vielleicht stellen wollen

Was soll bei der Studie herausgefunden werden?

Wie aufwendig ist die Teilnahme für mich und mein Kind?

Welche Vorteile, welche Nachteile kann die Studienteilnahme mit sich bringen?

Woran merkt man, dass das Medikament, das in der Studie erprobt wird, bei meinem Kind wirksam ist?

Wie hat das Medikament in früheren klinischen Studien abgeschnitten?

Welche Nebenwirkungen sind bei dem Medikament bereits bekannt?

Wer wird mein Kind während der Studie betreuen?

Wen kann ich im Notfall oder bei Fragen anrufen?

Welche Einschränkungen muss mein Kind zu Beginn oder während der klinischen Studie hinnehmen?

Was passiert, wenn die Studie vorzeitig beendet wird?

Wie kann mein Kind nach der Studie weiterbehandelt werden?

Kann es mit dem gleichen Medikament weiterbehandelt werden?

Muss mein Kind auch nach Abschluss seiner Behandlung noch ein paar Mal zu Nachuntersuchungen zum Arzt kommen?

Was geschieht mit den persönlichen Daten?

Wer kann sie sehen, wer nicht?

Kann ich später die Ergebnisse der Studie bekommen und (wenn die Studie verblindet war) erfahren, mit welchem Medikament mein Kind behandelt wurde?



Für manche klinischen Studien werden eigens Medikamente in kleinen Stückzahlen hergestellt.

Impressum

Herausgeber

Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V.
Hausvogteiplatz 13
10117 Berlin

Bildnachweis

Titel	vfa/Rainer Kurzeder
S. 1	vfa
S. 2	Getty Images
S. 4	Petra Steinkuehler-Nitschke
S. 6–7	Adler & Schmidt Kommunikations-Design
S. 8	Sanofi Pasteur MSD
S. 9	dpa
S. 10	Pixtal
S. 12–13	Adler & Schmidt Kommunikations-Design
S. 14	Wellcome Library, London
S. 15	vfa/Markus Winter
S. 17	Fotolia
S. 18	Fotolia
S. 19	vfa/Hartwig Klappert
S. 20	Rolf Hömke/Adler & Schmidt
S. 21	dpa
S. 23	medicalpicture
S. 24	Prisma
S. 27	vfa/Hartwig Klappert

Druck

Ruksaldruck

Stand

März 2011

Weitere Medien des vfa finden Sie unter:
www.vfa.de/publikationen

vfa
Hausvogteiplatz 13
10117 Berlin
Telefon 030 206 04-0
Telefax 030 206 04-222
www.vfa.de