

Chancen und Gefahren in der Zusammenarbeit bei klinischen Studien

Dr.phil.nat. Andreas L.G. Reimann, MBA

Geschäftsführer
Mukoviszidose Institut – gemeinnützige Gesellschaft
für Forschung und Therapieentwicklung mbH

Geschäftsführer, Mukoviszidose e.V., Bonn

1.Stellv.Vorsitzender
Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE) e.V., Berlin

Nutzen Herausforderungen ~~Chancen~~ und ~~Gefahren~~ in der Zusammenarbeit bei klinischen Studien

Dr.phil.nat. Andreas L.G. Reimann, MBA

Geschäftsführer
Mukoviszidose Institut – gemeinnützige Gesellschaft
für Forschung und Therapieentwicklung mbH

Geschäftsführer, Mukoviszidose e.V., Bonn

1.Stellv.Vorsitzender
Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE) e.V., Berlin

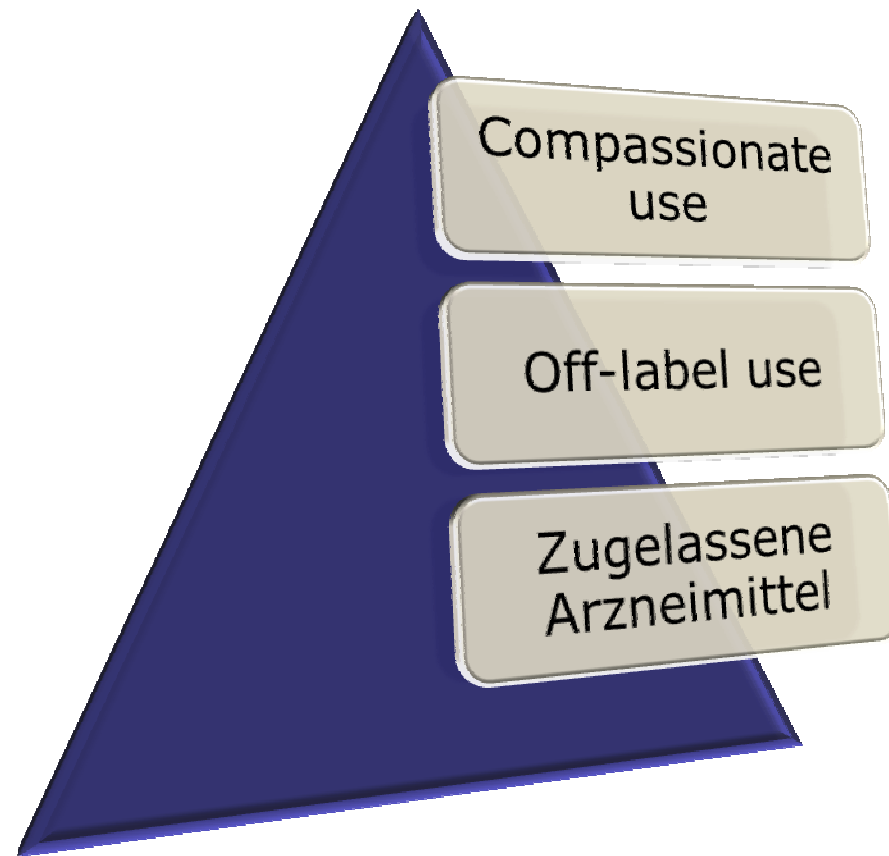
Potentielle Interessenkonflikte

- Hauptamtlicher Geschäftsführer des Mukoviszidose e.V. und der Mukoviszidose Institut gGmbH, Bonn
- Ehrenamtliches Vorstandsmitglied der Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE)
- Im Geschäftsjahr 2008/2009 wurden insgesamt ca. 7,4% der Einkünfte des Mukoviszidose e.V. direkt oder indirekt mit Unternehmen der gesundheitsbezogenen Industrie (Pharma, Med.Technik) erwirtschaftet (Industrieausstellungen, Anzeigen, Sponsoring)
- Diese Umsätze verteilen sich auf ca.30 Geschäftspartner. Davon waren aus der pharm.Industrie Novartis Pharma GmbH, Hoffmann LaRoche AG, AXCAN GmbH, Infectopharm GmbH, Asche Chiesi GmbH und Solvay Arzneimittel GmbH. Keines dieser Unternehmen trug mehr als 1% zum Gesamtertrag bei. Aufgrund eines Sondereffektes betrug der Anteil der Grünenthal GmbH 1,48%.
- Es bestehen keine immateriellen Interessenkonflikte

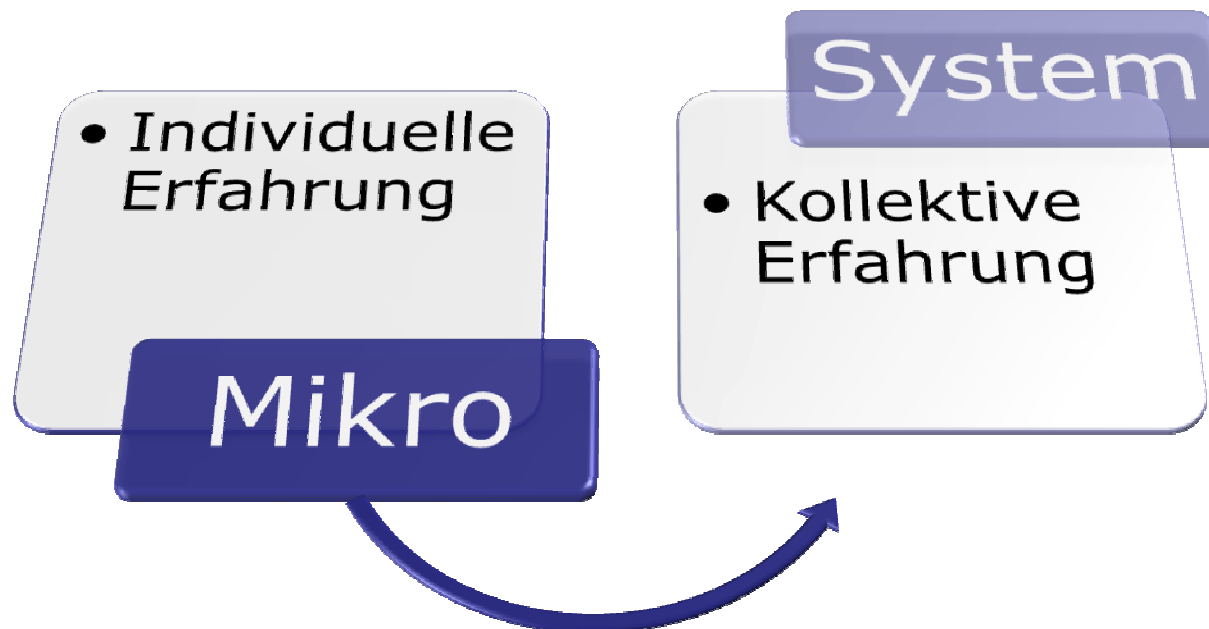
Typische Probleme von Betroffenen mit Seltenen Erkrankungen

- Langer Weg zur Diagnose
- Kampf um Verständnis bei Ärzten, Krankenhäusern, Krankenkassen, Angehörigen, Freunden...
- Isolation und Einsamkeit
- Suche nach kompetenter Behandlung
- Mangel an erfahrenen Ärzten und nicht-ärztlichen Therapeuten
- Fehlende Versorgungsstrukturen
- **Fehlende therapeutische Optionen**

Zugang gesichert nur durch Zulassung!



„Missing Link“



Warum fehlt hochwertige Evidenz bei seltenen Erkrankungen ?

- Seltenheit der Erkrankung
 - Fehlende Grundlagenkenntnisse
 - Fehlende (pharmakotherapeutische) Ansatzpunkte
 - Methodische Probleme (Statistik, Vergleichsbehandlung)
 - Rekrutierungsschwierigkeiten (Verstreutheit der Patienten, Konkurrenz zwischen den Studien)
 - Fehlende Patientenorganisation
- Ökonomische Gründe
- ...und in deren Folge:
organisatorisches Versagen

Selbsthilfegetragene Forschungsbeteiligung

Organisationstyp	Merkmale	Rolle in der Forschung
Selbsthilfegruppen	Lokal, Keine Hauptamtlichen	Überwiegend passiv: Patienteninformation (Rekrutierung!) über laufende Studien
Selbsthilfeorganisationen	Überregional, teilweise mit Hauptamtlichen für Teilaufgaben	s.o. plus: Beteiligung an Designdiskussionen, finanzielle Unterstützung von IITs
Patientenorganisationen	Überregional, Hauptamtliche, qualifizierte Mitarbeiter	s.o. plus: Aktive Beteiligung an Forschungskonsortien (z.B. Antragsstellung), Sponsor klinischer Studien i.S. AMG

Forschungsbeteiligung von Patientenorganisationen

- Inhaltliche Beteiligung
 - Zielsetzung
 - Prüfplan
 - Organisation
 - Rekrutierung
 - Durchführung
 - Ergebnisse und Kommunikation
- Organisation
 - Finanzierung
 - Sponsoreneigenschaft gem.AMG
 - Beteiligung an Patientenregistern

Nutzen und Herausforderungen der Zusammenarbeit von der Planung bis zur Kommunikation klinischer Studien



Anforderung an die Zusammenarbeit mit Patienten (-organisationen)

- **Respektvoll:**
 - Patientenorganisationen haben ihre eigenen Interessen
- **Transparent:**
 - Rollen und Verantwortlichkeiten klären
- **Fair:**
 - Erwartungen abklären
- **Ehrlich:**
 - Keine falschen Hoffnungen wecken

Für Rückfragen:

Dr.Andreas L.G.Reimann

0228-98780-12

andreas.reimann@achse-online.de

www.achse-online.de

www.muko.info

VIELEN DANK !

Herausforderungen bei der Protokolldefinition

■ Endpunkte

- Patientenrelevant?
- Therapierelevant?
- Regulatorisch Akzeptabel?
- Wissenschaftlich fundiert?

■ Design

- Klinisch relevant (Placebokontrolle vs. head-to-head)?
- Akzeptabel für die Patienten?

■ Methoden/Flow-Chart

- Umsetzbar für den Patienten?
- Belastung akzeptabel? 