

# An klinischen Prüfungen beteiligte Patienten

## Einleitung

Ein Beispiel für Patientenbeteiligung durch Input von Patienten und Patientenorganisationen für das Design einer klinischen Studie zum Cushing-Syndrom. Die Beratung fand zwischen Novartis und Krankenschwestern/-pflegern verschiedener Teams (USA, Kanada und Brasilien), Patienten mit der Cushing-Syndrom

(USA) und Pflegern und Vertretern von Patientenorganisationen statt.

## Beschreibung des Falles

Die Ziele waren in diesem Fall:

- Der Erhalt eines spezifischen Feedbacks zu Abschnitten des Prüfplangentwurfs von Patienten, Pflegern, Patientenvertretern und Koordinatoren von Forschungsstudien zur Entwicklung einer klinischen Studie zum Cushing-Syndrom.
- Die Identifikation potenzieller Bedenken seitens der Patienten- und Forschungsgemeinschaft, welche die Patientenrekrutierung für die Studie zum Cushing-Syndrom in der Zukunft beeinflussen könnten.
- Die Identifikation von Wegen, die Novartis helfen können, die Entwicklung neuer Arzneimittel mit entsprechenden Instrumenten und Schulungsmaterialien für Patienten mit Cushing-Syndrom zu unterstützen.

# Typen von beteiligten Patienten (vertretern)

- Patienten mit persönlicher Krankheitserfahrung.
- Patientenexperten/Patientenvertreter mit guten Sachkenntnissen über die Erkrankung, jedoch wenig Erfahrung im Bereich F&E.
- Patientenexperten/Patientenvertreter mit guten Sachkenntnissen über die Erkrankung und umfassender Erfahrung im Bereich F&E.

## Vorteile der Patientenbeteiligung

Die folgenden Themen wurden diskutiert und an das Entwicklungsteam weitergeleitet:

- Mehrere Punkte, die beim Design einer Studie zu einer seltenen Krankheit zu berücksichtigen sind, einschließlich Kommunikation zwischen Patient und Prüfarzt, Aufnahme in die Studie, Schulung, psychosozialer Unterstützung, Zugang, Verfolgung, Berichterstattung und Nachbeobachtung.
- Studienlänge, Transport und Besuchsplan wurden als Haupthindernisse aus der Perspektive der Patienten genannt.
- Die Arbeit mit Patientenvertretergruppen ist in klinischen Studien äußerst wichtig. Patientenvertretergruppen sollten genutzt werden, um Informationen über Studien bekannt zu machen und zu verbreiten, um die Rekrutierung zu fördern.
- Überlegungen zum prinzipiellen Nachweis der Wirksamkeit und Sicherheit (proof of concept) und zur möglichen Wichtigkeit des untersuchten Arzneimittels für die Patienten.

## **Ergebnisse**

- Das Studiendesgin war besser an die Bedürfnisse der Patienten angepasst.
- Unterschiedliche Perspektiven und Einblicke ermöglichten ein fundierteres Studiendesign.

## **Herausforderungen und Hindernisse**

Es gab keine spezifischen Hindernisse.

## **Erkenntnisse**

Es besteht ein Bedarf für eine bessere Vorbereitung der Patientenvertreter zur Teilnahme an der Diskussion, einschließlich folgender Themen:

- Was eine klinische Studie ist.
- Warum eine klinische Studie wichtig ist.
- Was man von einer klinischen Studie erwarten kann, einschließlich des erforderlichen zeitlichen Aufwands.
- Warum bestimmte Untersuchungen in einer klinischen Studie notwendig sind, möglicherweise mit Tipps zur Erleichterung des Managements dieser Untersuchungen.
- Was Crossover bedeutet und warum es notwendig ist.

## **Anlagen**