

# Beurteilung des Wertes der Ergebnisse klinischer Prüfungen

## Einleitung

Nicht alle klinischen Prüfungen sind gleich. Im Zuge der Entscheidung, wie große Bedeutung den Ergebnissen einer klinischen Prüfung beizumessen ist, ist es sinnvoll, einige Schlüsselfragen zu stellen:

## Wie gut war das Studiendesign?

Es gibt nicht das eine korrekte Design für eine klinische Prüfung. Es geht vielmehr darum, ob das verwendete Design für die Umstände angemessen war. Während groß angelegte Studien im Allgemeinen zuverlässiger als kleine Studie sind, muss dies mit gesundem Menschenverstand interpretiert werden. Zum Beispiel wird eine Studie zu einem seltenen erblichen Enzymmangel niemals in der Lage sein, 5 000 Patienten einzuschließen, wie dies oft bei Studien zu Arzneimitteln zur Behandlung von Herzinfarkten zu sehen ist. In ähnlicher Weise würde eine Nachbeobachtungszeit von wenigen Wochen bei einer Studie zu Lungenentzündungen vollkommen ausreichend sein, wäre jedoch im Falle einer Anti-Baby-Pille unangemessen. Placebo-Kontrollgruppen sind, wenn auch für die Interpretation der Ergebnisse sehr hilfreich, in einigen Situationen eindeutig ethisch nicht vertretbar (z. B. bei lebensbedrohlichen Erkrankungen, für die es eine wirksame Behandlung gibt). Während vergleichende Studien zur Beurteilung der Wirksamkeit am besten geeignet sind, können größere und längere offene Studien mehr Erkenntnisse zur Sicherheit des Arzneimittels im wahren Leben liefern.

Jedem Studiendesign muss sich durch die folgende Frage angenähert werden: „Was ist die beste Art, unter den gegebenen Umständen vorzugehen?“

## **Entspricht die untersuchte Studienpopulation der einen Population, an der ich interessiert bin?**

Informationen aus einer Studie, die unter Beteiligung von Erwachsenen zwischen 18 und 65 Jahren durchgeführt wurde, können für ältere Patienten von begrenzter Relevanz und als Leitlinie zur Behandlung von Säuglingen nahezu mit Sicherheit unangemessen sein. In ähnlicher Weise können Menschen mit schwerer oder stark fortgeschrittener Erkrankung recht anders reagieren als jene mit leichter Erkrankung oder Erkrankung im Anfangsstadium.

## **Wie relevant sind die Endpunkte?**

Einige Krankheiten und Symptome sind für die Untersuchung in einer klinischen Prüfung leichter zugänglich als andere. Wenn ein neues Krebsmedikament das mediane Überleben um ein Jahr erhöht, bestehen wenig Zweifel, dass es sich um ein relevantes Maß handelt. Bei einem neuen Schmerzmittel zur Behandlung der gleichen Patienten ist die Beurteilung viel schwieriger, da es keine eindeutigen „Standardeinheiten für Schmerz“ gibt. Wiederum kann nur die Frage gestellt werden, ob der gewählte Ansatz für die Umstände angemessen ist.

## **Waren die Wirkungen des Arzneimittels klinisch wertvoll?**

Im Allgemeinen gilt: je größer die Wirkung des Arzneimittels,

desto besser. Alle Arzneimittel haben ihren Preis – sowohl finanziell als auch in Bezug auf Nebenwirkungen. Das Ziel ist es, den größtmöglichen Nutzen zum Ausgleich für diesen Preis zu finden. Es lohnt sich jedoch, sich vor Augen zu halten, dass ein Ergebnis, das insgesamt bescheiden ist, dadurch entstehen kann, dass es bei einigen zu einer drastischen Verbesserung und bei anderen zu keiner Veränderung führt. Wenn weitere Forschung helfen kann, Untergruppen zu identifizieren, in denen ein besonders gutes Ansprechen wahrscheinlich ist, hat dieses neue Arzneimittel in dieser Zielpopulation eventuell viel zu bieten.

## **Wie passen die Ergebnisse klinischer Prüfungen in das Muster der Vorkenntnisse?**

Es ist sehr ungewöhnlich für eine klinische Prüfung, die einzige verfügbare Informationsquelle in einem bestimmten Bereich der Medizin zu sein. Wenn dies dennoch der Fall ist, handelt es sich in der Regel um die erste Anwendung eines vollkommen neuen Ansatzes zur Behandlung und alles, was man tun kann, ist, die Ergebnisse mit Interesse zu Kenntnis nehmen und abwarten, ob nachfolgende Studien sie unterstützen. Wesentlich häufiger gab es bereits vorherige Studien, die mit dem gleichen Arzneimittel oder der gleichen Arzneimittelklasse bei den gleichen oder verwandten Krankheiten durchgeführt wurden. Die neuen klinischen Studienergebnisse können dann vor dem Hintergrund der Vorkenntnisse betrachtet werden. Befunde, die mit dem bereits Bekannten gut ineinander greifen, werden im Allgemeinen leichter akzeptiert als jene, die früheren Ergebnissen direkt widersprechen. Allerdings ist es wichtig, aufgeschlossen zu sein.