

# PatientsInvolved – zwischen Sponsoren und Teilnehmern

## Einleitung

Beispiel der persönlichen Erfahrung eines Patientenvertreters, der als Schnittstelle zwischen Sponsoren und Teilnehmern an klinischen Studien agierte. Dies fand statt im Bereich der seltenen Krankheiten bei EURORDIS und im Bereich HIV/AIDS mit Act Up, Traitements & Recherche Thérapeutique (TRT-5) und der European AIDS Treatment group (EATG).

## Beschreibung des Falles

Die Anzahl der klinischen Studien, an deren Design, Durchführung, DSMB, Ergebnisanalyse und Kommunikation der Patientenvertreter persönlich beteiligt war, betrug etwa 77. Dies beinhaltet Studien mit einigen hundert bis einigen tausend Patienten.

Methoden:

- TRT-5: Von der französischen AIDS-Forschungsagentur (ANRS) genehmigte SOP, gemäß der alle Prüfpläne klinischer Studien zu AIDS/HIV (einschließlich opportunistischer Krankheiten), viraler Hepatitis und anderen Viruserkrankungen vor der Einreichung bei der Ethik-Kommission mit Patientenvertretern diskutiert werden müssen, und Fortschrittsüberprüfung all dieser während der klinischen Prüfungen.
- Gleichzeitig traf sich TRT-5 auch mit privaten Sponsoren (Industrie), aber auf freiwilliger Basis.
- EATG/Beirat der Europäischen Gemeinschaft: von 1996 bis 2002, auf freiwilliger Basis, klinische Studien, die von

der Industrie oder öffentlichen Forschungsorganisationen durchgeführt wurden (z. B. die Studie INITIO von HIV Connect).

- EURORDIS: Umsetzung der Charta für klinische Studien zu seltenen Krankheiten (Charter for Clinical Trials in Rare Diseases), die von sieben Unternehmen unterzeichnet wurde, von denen eines eine Absichtserklärung („Memorandum of Understanding“) mit entsprechenden Patientenorganisationen unterzeichnete (Zusammenarbeit bei zwei klinischen Studien und einem Compassionate-Use-Programm).

## **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.
- Patientenvertreter ohne Sachkenntnisse über die Erkrankung und umfassender Erfahrung im Bereich F&E.

## **Vorteile der Patientenbeteiligung**

Keine systematische Bewertung des Prozesses und der Ergebnisse in den oben erläuterten Methoden.

Allerdings ermöglichte der gesamte Prozess Folgendes:

- Wesentliche Änderungen an den Prüfplänen klinischer Studien: Eine Diskussion zum therapeutischen Bereich veranlasste einen Sponsor dazu, einen Behandlungsarm zu einer Phase-III-Studie hinzuzufügen, um eine Dosis zu untersuchen, die von den Prüfärzten ursprünglich nicht

vorgeschlagen wurde. Diese Dosis war schließlich nach Genehmigung für das Inverkehrbringen (Zulassung) die zugelassene Dosis.

- Wesentliche Änderungen am Arzneimittelentwicklungsplan: Studien, die nicht vom Unternehmen geplant waren, sondern von Patientenvertretern vorgeschlagen, wurden hinzugenommen und erfolgreich durchgeführt.
- Unterbrechung von Studien: Studien, die über eine Genehmigung verfügten und von Ethik-Kommissionen positiv bewertet worden waren, wurden letztendlich unterbrochen, nachdem Patientenvertreter nach Aufnahme der Studien ethische Bedenken äußerten.
- Auswahl des relevanten Ergebnisses: Wenn im Falle seltener Krankheiten keine oder erst wenig klinische Forschung stattgefunden hat, ist es für die Identifikation/Anpassung/Definition eines relevanten Ergebnisses äußerst wichtig, Patienten anzuhören.

## **Herausforderungen und Hindernisse**

- Tabelle der Entscheidungen und Nachbeobachtungen: Es ist von wesentlicher Bedeutung, alle Diskussionen, Textänderungen und Vorschläge zu verfolgen - eine gute von den Patienten gemanagte Sekretariatsarbeit.
- Vertraulichkeitserklärung: Unterzeichnete Dokumente sind notwendig. Wenn keine Vertraulichkeitserklärungen unterzeichnet wurden, sollte man den Sponsor erst gar nicht treffen. Es wäre Zeitverschwendung.
- Insidergeschäfte: Stellen Sie sicher, dass dieses Risiko gering ist. Lassen Sie die Teilnehmer eine Vereinbarung unterzeichnen, dass die Informationen nicht genutzt werden, um Aktien an der Börse zu kaufen oder verkaufen.
- Einheitlichkeit bei Empfehlungen: Stellen Sie eine langfristige Verpflichtung der Patientenvertreter und einen Pool an Freiwilligen/Personal mit einer guten Kommunikation zwischen allen sicher (siehe auch den ersten o.g. Punkt).

- Vermeidung von Interessenkonflikten: Transparenz, teilen Sie die Agenda/Protokolle der Treffen mit Regulierungsbehörden.
- Transparenz mit der weiteren Patientengemeinschaft: Definieren Sie, was diskutiert wird, vereinbaren Sie, was vertraulich sein wird und was nicht.
- Angemessene Schulung/Mentorat.

## Erkenntnisse

Mit wem genau ist zu interagieren? Für öffentliche Sponsoren ist dies in der Regel der Leiter der klinischen Prüfung. Bei privaten Sponsoren kann es (1) die Abteilung für Öffentlichkeitsarbeit und Marketing, (2) das Forschungsteam oder (3) eine Mischung daraus sein. Nur (2) sollte in Erwägung gezogen werden.

Wie stellt man sicher, dass die Entscheidungsträger mit den Patientenvertretern interagieren? Und nicht nur Mittelsmänner mit wenig oder gar keinem Einfluss auf die Geschäftsleitung des Sponsors?

Wie gelingt eine Koordination bei internationalen Studien mit Patientenvertretern weltweit?

Direkte Vergleiche oder Studien mit multifaktoriellem Design, wenn eine Kooperation zwischen Konkurrenten notwendig ist: dies geschieht typischerweise nicht, ist jedoch sehr notwendig. Wie kann man dies verbessern?

Beim Dialog zur F&E geht es nicht nur darum, eine Zulassung und/oder Erstattung zu erzielen. Wie eröffnet man den Dialog zur generellen Unternehmensverantwortung?

Ergebnisse klinischer Studien und wie man die Teilnehmer von Studien zur gleichen Zeit wie die Prüfarzte informiert.

# Anlagen