

# Klinische Studien aus Patientensicht

Aplastische Anämie & PNH e.V.

Rainer Göbel

06.03.2021

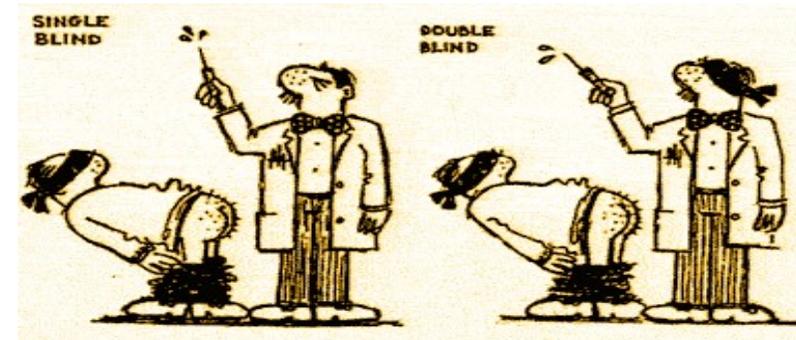
AA und PNH - 6. Patienten- und Angehörigenseminar, Ulm

## Therapiestudie

- Erprobung eines neuen Behandlungskonzepts bzw. Medikaments
- Vergleich neu vs. Standard bzw. Placebo
- Ersttherapie, Alternativtherapie, Therapieoptimierung
- Je schlechter der eigene Zustand, desto niedriger kann die Studienphase sein

# Begriffe

- Kontrolliert
- Randomisiert
- Einfach blind oder Doppelblind
- Ein-/Ausschlusskriterien
- Sponsor
- Ethikkommission
- multizentrisch



## Arten von Studien

- Investigator-initiierte Studie (IIT)  
Planung durch Klinik (oft universitär)
- Industrie-gesponsort  
Zulassungsstudie

# Medikament-Entwicklung bis zur Zulassung



## Rechte von Studienteilnehmern

- Freiwilligkeit der Teilnahme
- Ausführliche Aufklärung über Krankheit und Studienablauf
- Schriftliche Patienteninformation
- Datenschutz
- Versicherungsschutz
- Rücktritt vom Einverständnis jederzeit

## Pflichten von Studienteilnehmern

- Ärztlichen Anweisungen folgen
- Medikamente regelmäßig einnehmen
- Behandlungs- und Untersuchungstermine wahrnehmen
- Informationen an Studienarzt
  - Nebenwirkungen und Wechselwirkungen
  - Andere eingenommene Medikamente (manche sind genehmigungspflichtig)

## Vorteile

- Partizipation an neuesten Kenntnissen in der Medizin
- Hoffnung auf bessere Therapieoptionen
- Intensivere Betreuung durch Arzt und Studienschwester/-pfleger
- Ausführlichere Untersuchungen
- Kostenlos (meistens)
- Fahrtkostenerstattung

## Risiken

- Unbekannte Neben- und Wechselwirkungen
- Ausführlichere Untersuchungen
- Schlechtere Therapieoption durch Randomisierung (keine Einflussmöglichkeit)

## Ablauf

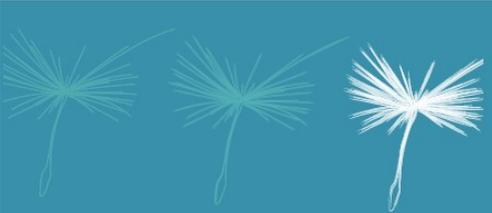
- Aufklärung über die Krankheit und Studie durch Prüfarzt
- Prüfung der Ein- und Ausschlusskriterien
- Patienteninformation
- Einverständniserklärung

# Patienteninformation

**PATIENTEN  
INFORMATION**

INFORMATIONSBLATT UND EINWILLIGUNGSKLÄRUNG ZUR TELNNAHME AN EINER KLINISCHEN PRÜFUNG.

*TIGER: Therapieoptimierung bei neu diagnostizierten Philadelphia-Chromosom/BCR-ABL<sub>1</sub>-positiven Patienten mit chronischer myeloischer Leukämie in chronischer Phase mit Nilotinib-basierter Induktion und Nilotinib- oder Imatinib- $\alpha$ -Erhaltungstherapie*



INHALT	
5.1 ORGANISATION UND VERANTWORTLICHKEIT	5.11 ANDERE THERAPIEN AUSSERHALB DER STUDIE
5.2 HINTERGRUND / BEDEUTUNG DER STUDIE	5.11 WER DARF AN DER STUDIE TEILNEHMEN?
5.3 ZIELSETZUNG DER STUDIE	5.12 KOSTEN
5.3 EINTEILUNG DER PATIENTEN IN GRUPPEN	5.12 VERSICHERUNGSSCHUTZ
5.4 ABLAUF DER KLINISCHEN STUDIE	5.13 MITTEILUNG NEUER ERGEBNISSE
5.7 WEITERE WICHTIGE INFORMATIONEN	5.13 AUSSCHIEDEN AUS DER STUDIE
5.7 MÖGLICHE VORTEILE DURCH EINE TELNNAHME	5.14 DATENSCHUTZ / PROBEI AUFBEWAHRUNG
5.8 NEBENWIRKUNGEN DER PRÜFMEDIKAMENTE	5.17 DATENSCHUTZERKLÄRUNG
5.10 WEITERE RISIKEN / MÖGLICHE BESCHWERDEN	5.18 EINWILLIGUNGSKLÄRUNG

Früfstelle (Stempel):

## Aktuelle Studien (AA)

- EMAA (IIT: UK Ulm) NCT02773225  
Ph. II+III: Patienten mit moderater AA, wo CsA notwendig ist  
INN: Eltrombopag  
Ulm
- REGN7257 (Regeneron) NCT04409080  
IL2- Antikörper  
Ph. I+II: Patienten mit schwerer AA bei Versagen der immunsuppressiven  
Therapie  
Frankreich

## Aktuelle Studien (PNH 1)

- APL2-307 (Apellis) NCT03531255  
C3-Antikörper, sc, 2 x wöchentlich  
Ph. III: Langzeitevaluation  
INN: Pegcetacoplan  
auf Einladung: Aachen, Essen, Hamburg, Ulm
- CLNP023X2201+CLNP023C12302 (Novartis) NCT03439839+NCT04558918  
Faktor B, oral, 2 x täglich  
Ph. III: Patienten mit aktiver Hämolyse bzw. Anämie trotz Behandlung  
INN: Iptacopan  
Essen

## Aktuelle Studien (PNH 2)

- BO42161 (Roche) NCT04432584  
C5-Komplementinhibitor, 1 x iv dann sc, alle 4 Wochen  
Ph. III: vorbehandelte Patienten, Vergleich mit Eculizumab  
INN: Crovalimab  
Aachen, Essen, Riesa, Ulm
- BO42162 (Roche) NCT04434092  
C5-Komplementinhibitor, 1 x iv dann sc, alle 4 Wochen  
Ph. III: nicht-vorbehandelte Patienten, Vergleich mit Eculizumab  
INN: Crovalimab  
Essen, Riesa, Ulm

# Register

- Was ist ein Register
- Beispiele:
  - PNH-Register
  - Telomeropathie und aplastische Syndrome

# Europäische Zulassungsbehörde (www.clinicaltrialsregister.eu)



CT Search of: Recruiting Studie: x Klinische Studie - Wikipedia x Clinical Trials Register x +

https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2015-004998-33/DE

Meistbesucht Santander Internet Ba... ING-DiBa Internetban... Postbank Online-Bank... Deutsche Bahn: bahn... Google Maps SL QUAMP | Kundenbere...

**Summary**

EudraCT Number:	2015-004998-33
Sponsor's Protocol Code Number:	CAMN107ADE22T
National Competent Authority:	Germany - BfArM
Clinical Trial Type:	EEA CTA
Trial Status:	Ongoing
Date on which this record was first entered in the EudraCT database:	2016-03-07

Trial results

**Index**

- [A. PROTOCOL INFORMATION](#)
- [B. SPONSOR INFORMATION](#)
- [C. APPLICANT IDENTIFICATION](#)
- [D. IMP IDENTIFICATION](#)
- [D.8 INFORMATION ON PLACEBO](#)
- [E. GENERAL INFORMATION ON THE TRIAL](#)
- [F. POPULATION OF TRIAL SUBJECTS](#)
- [G. INVESTIGATOR NETWORKS TO BE INVOLVED IN THE TRIAL](#)
- [N. REVIEW BY THE COMPETENT AUTHORITY OR ETHICS COMMITTEE IN THE COUNTRY CONCERNED](#)
- [P. END OF TRIAL](#)

[Expand All](#) [Collapse All](#)

**A. Protocol information**

A.1	Member State Concerned	Germany - BfArM
A.2	EudraCT number	2015-004998-33
A.3	Full title of the trial	Multicenter prospective trial after first unsuccessful treatment discontinuation in chronic myeloid leukemia estimating the efficacy of nilotinib in inducing the persistence of molecular remission after stopping tyrosine kinase inhibitors a second time
A.3.1	Title of the trial for lay people, in easily understood, i.e. non-technical, language	Stopping tyrosine kinase inhibitors a second time after first unsuccessful treatment discontinuation in chronic myeloid leukemia

# National Institutes of Health (https://clinicaltrials.gov)



13 Studies found for:  
Recruiting Studies | CML | Germany

Hide Filters      Download      Subscribe to RSS

Showing: 1-13 of 13 studies      25 studies per page      Show/Hide Columns

Row	Saved	Status	Study Title	Conditions	Interventions
1	<input type="checkbox"/>	Recruiting	Phase II Study Testing the Tolerability and the Efficacy of Bosutinib in Chronic Phase CML Patients	Chronic Myelogenous Leukaemia	Drug: Bosulif
2	<input type="checkbox"/>	Recruiting	DC Vaccination in CML	Myeloid Leukemia, Chronic	Biological: DC vaccine
3	<input type="checkbox"/>	Recruiting	Safety And Efficacy Study Of Bosutinib In Patients With Philadelphia Chromosome Positive Chronic Myeloid Leukemia Previously Treated With One Or More Tyrosine Kinase Inhibitors	Previously Treated PH + CML	Drug: Bosutinib
4	<input type="checkbox"/>	Recruiting	A Phase I Study of Oral ABL001 in Patients With CML or Ph+ ALL	Chronic Myelogenous Leukemia; Philadelphia Chromosome-positive Acute Lymphoblastic Leukemia	Drug: ABL001; Drug: ABL001 + Nilotinib; Drug: ABL001+imatinib; Drug: ABL001+dasatinib
5	<input type="checkbox"/>	Recruiting	ENDURE - Efficacy and Safety of AOP2014 With CML Patients in Remission	Chronic Myeloid Leukemia in Remission	Drug: AOP2014 / Pegylated-Proline-interferon alpha-2b; Other: Surveillance
6	<input type="checkbox"/>	Recruiting	Study Assessing Deep Molecular Response in Adult Patients With CML in Chronic Phase Treated With	Chronic Myeloid Leukemia	Drug: Nilotinib

# Broschüre zu Therapiestudien



06.03.2021

AA und PNH - 6. Patienten- und Angehörigenseminar, Ulm

23

## Vorgehensweise

- Fragen im Vorfeld überlegen und notieren
- Aufklärung auf mehrere Gespräche verteilen
- Nachfragen
- Angehörigen mitnehmen
- Zweite Meinung einholen
- Ausreichend Zeit nehmen

# Fragenkatalog

- Wie wäre meine bestmögliche Therapie, wenn ich nicht an der Studie teilnehme?
- Welche Verbesserung gegenüber dem Standard ist möglich/wahrscheinlich?
- Was wird in der Studie gemacht?
- Welche Vorteile habe ich?
- Welche Risiken gibt es?
- Wie ist die zeitliche Abfolge?
- Welche Untersuchungen werden durchgeführt?
- ...

## Patientenbeteiligung

- von Patientenvertretung in allen Phasen gefordert, also schon bei der Planung
- zunehmend bei Erstellung der Patienteninformation und in Ethikkommission
- Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA) Bewertung des Zusatznutzens
  
- Vertreter werden benötigt

## Zusammenfassung

- Die Teilnahme an Studien bietet Vorteile für Patienten, kann aber auch Risiken beinhalten
- Jeder Teilnehmer sollte sich gründlich informieren, alle Fragen mit dem Arzt besprechen und sich dann entscheiden
- Die Studienteilnahme kann jederzeit ohne Angaben von Gründen abgebrochen werden

**Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit.**

Wir freuen uns auf Ihre Fragen!

[r.goebel@aa-pnh.de](mailto:r.goebel@aa-pnh.de)