



Organisation Kinderarzneiforschung
Medicines for Children Research Organisation · AUSTRIA

KLINISCHE STUDIEN BEI KINDERN UND JUGENDLICHEN

INFORMATION FÜR ELTERN



Diese Informationsbroschüre wurde vom OKIDS Team erstellt, um Interessierten und betroffenen Familien Basisinformationen über das Wesen klinischer Studien zur Verfügung zu stellen.

Fotos auf Seite 13 (oben), 14 und 21 (unten) wurden freundlicherweise von der Gesellschaft für Mucopolysaccharidosen und ähnlichen Erkrankungen zur Verfügung gestellt.

Impressum

Herausgeber:



OKIDS GmbH

Zimmermannplatz 10
1090 Wien

Netzwerkzentrale – Wien :

Zentrale Koordination und Auskünfte: Andrea Mikolasek

Tel: +43 1 40470 4990

Fax: +43 1 40470 64990

E-Mail: office@okids-net.at

Internet: www.okids-net.at

Haftungsausschluss: Die OKIDS GmbH übernimmt keinerlei Gewähr für die Vollständigkeit, Richtigkeit, Aktualität oder Qualität jeglicher von ihr erteilten Auskünfte, jeglichen von ihr erteilten Rates und jeglicher von ihr zur Verfügung gestellter Informationen. Eine Haftung für Schäden, die durch Rat, Information und Auskunft der OKIDS GmbH verursacht wurden, ist ausgeschlossen.

© 2020 – OKIDS – Organisation Kinderarzneiforschung

Layout und Druck: Haltmeyer Ges.m.b.H - www.haltmeyer.at



Liebe Leserinnen und Leser,

Krankheiten machen leider auch vor Kindern und Jugendlichen nicht Halt. Gut, wenn es eine bewährte Behandlung gibt!

Sollte Ihnen als Eltern eine Studienteilnahme Ihres Kindes von Ihren behandelnden Ärztinnen und Ärzten an einer Klinik oder in einer Arztpraxis angeboten werden, entstehen oft viele Fragen. Vielleicht haben Sie auch von sich aus nach einer Studie gefragt oder sind im Internet oder durch eine Anzeige auf eine Studie aufmerksam geworden. Aber vor allem bewegt Eltern die Frage: Soll mein Kind eine Behandlung erhalten, bei der ein Medikament erst erprobt wird?

Die vorliegende Broschüre wurde vom österreichischen Kinderforschungsnetzwerk OKIDS erstellt. Sie dient dem Zweck, über das Wesen und die Bedeutung klinischer Studien mit Kindern und Jugendlichen aufzuklären.

Die Ärztinnen und Ärzte, die Ihr Kind behandeln, sind nun die besten Ansprechpartner:

Sie werden Ihnen und – wenn möglich – Ihrem Kind die Studie umfassend erklären, ebenso die Behandlungsmöglichkeiten außerhalb der Studie.

Diese Broschüre gibt Antworten auf allgemeine Fragen zu klinischen Studien. Sie erklärt, wie sie geplant und durchgeführt werden. Sie beschreibt die Chancen und Risiken, die generell mit einer Teilnahme verbunden sind. Sie erläutert was zum Schutz von minderjährigen StudienteilnehmerInnen getan wird. Sie sagt auch, welche Rechte die Teilnehmerinnen und Teilnehmer und ihre Eltern haben und zeigt auf, welche Verpflichtungen das medizinische Fachpersonal begleiten.

Nehmen Sie sich auf alle Fälle Zeit für die Entscheidung und sprechen Sie an, was Ihnen Hoffnung oder Sorge bereitet! Sie und Ihr Kind sollen die Entscheidung für oder gegen die Teilnahme auf gutes Wissen gründen können. Dabei wollen wir Sie unterstützen!

Prof. Dr. Ruth Ladenstein
Geschäftsführerin der OKIDS GmbH

OKIDS - Wer sind wir?

Standorte und Struktur

Das Arzneimittelnetzwerk OKIDS ist ein kompetenter Partner und Serviceleister an fünf auf Kinder und Jugendliche spezialisierten Standorten der Medizinischen Universitäten in Wien, Innsbruck, Graz, Salzburg und am St. Anna Kinderspital.

OKIDS trägt dazu bei, dass Österreichs Kindern neue und bessere Medikamente mit der größtmöglichen Sicherheit zur Verfügung gestellt werden können.

OKIDS GESCHÄFTSFÜHRUNG Univ.-Prof.Dr. R. Ladenstein
OKIDS PROJEKTMANAGEMENT Andrea Mikolasek

OKIDS STANDORTE

WIEN

Kinderklinik: Univ.-Prof.Dr. S. Greber-Platzer

Projektmanagement: Mag. DDr. A.Thajer MSc.

Study Nurse: Christina Wittmann, BSc.

SAK: Univ.- Prof.Dr. Wolfgang Holter

Leitung Koordinierungszentrum für Klinische Studien und Statistik: Univ.-Prof.Dr. R. Ladenstein

Study Nurses: Christiana Echnner

SALZBURG

Kinderklinik: Univ.-Prof.Dr. W. Sperl

Leitung Clinical Research Center Salzburg GmbH: PD Dr. F. B. Lagler

Study Nurse: Sabine Geiersberger, BSc.

INNSBRUCK

Kinderklinik: Univ.-Prof.Mag.Dr. T. Müller

Leitung KKS: Mag. (FH) S. Embacher-Aichhorn

Study Nurse: Mag. Bettina Gadner

GRAZ

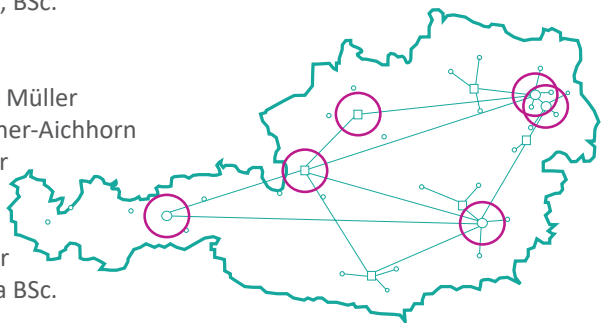
Kinderklinik: Univ.-Prof.Dr. E. Eber

Study Nurse: Lucia Jiménez García BSc.

LINZ

Kinderklinik: Univ.-Prof.Dr. W. Högler

Study Nurse: Lisa Ameshofer MSc.



Inhalt

OKIDS - Wer sind wir?.....	4
Was sind klinische Studien?.....	6
Wer kann Arzneimittel genehmigen?.....	6
Wer kann klinische Studien durchführen?.....	7
Auch die Kleinsten?.....	8
Welche Vorteile bieten klinische Studien?.....	8
Wie wird ein Medikament für Kinder bzw. Jugendliche entwickelt?.....	9
Welches Studiendesign wird gewählt?.....	12
Wie viele Patientinnen und Patienten nehmen an der Studie teil?.....	13
Wie werden Behandlungsmethoden verbessert?.....	13
Wer kann an einer Studie teilnehmen?.....	14
Wie läuft die klinische Studie ab?	14
Was ist die Alternative zur Studienteilnahme?.....	16
Absage nach Zusage? Ist das erlaubt?.....	17
Wie werden Kinder in klinischen Studien geschützt?.....	17
Welche Rechte und Pflichten bestehen in einer Studie?.....	19
Welche Daten werden in klinischen Studien gesammelt und was passiert mit ihnen?.....	20
Warum haben genetische Begleituntersuchungen eine Bedeutung?.....	21
Sind spezielle Einwilligungen für genetische Untersuchungen notwendig?.....	21
Wie läuft eine genetische Untersuchung ab?.....	22
Wo und wann werden Studienergebnisse veröffentlicht?.....	22
Wer beantwortet weitere Fragen?.....	23
Fragen, die Sie der Ärztin oder dem Arzt vielleicht stellen wollen.....	24
Danksagung.....	27

Was sind klinische Studien?

Bei klinischen Studien werden Arzneimittel, Impfstoffe, neue Behandlungsmethoden oder diagnostische Tests am Menschen getestet. Klinischen Studien, auch (Arzneimittel-) Prüfungen genannt, haben das Ziel,

- die richtige Dosis eines Arzneimittels zu finden,
- die Wirksamkeit in der Behandlung oder Vorbeugung einer Erkrankung sicherzustellen,
- die Häufigkeit von unerwünschten Arzneimittelwirkungen zu erfassen,
- oder die Wertigkeit eines diagnostischen Tests zu bestimmen.

Sorgfältig geplante klinische Studien sind der einzige Weg, diese Informationen zu sammeln, bevor ein Medikament allgemein verwendet werden kann.

Wer kann Arzneimittel genehmigen?



Die **Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA, englisch European Medicines Agency)** ist eine Agentur der Europäischen Union mit Sitz in London, die für die Beurteilung und Überwachung von Arzneimitteln zuständig ist. (<http://www.ema.europa.eu>)

Der Europäischen Arzneimittel-Agentur obliegt die Erhaltung und Förderung der öffentlichen Gesundheit in der Europäischen Union (EU), indem sie eine laufende Bewertung und Überwachung aller Human- und Tierarzneimittel koordiniert.

Bei ihrer Arbeit bedient sie sich der wissenschaftlichen Ressourcen aus den nationalen Arzneimittelbehörden der 31 Mitgliedstaaten der Europäischen Union und der Europäischen Wirtschaftsraum-Staaten.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur spielt eine zentrale Rolle in der Arzneimittelzulassung. Auf der Basis ihrer wissenschaftlichen Beurteilung erteilt die Europäische Kommission einen zustimmenden oder abschlägigen Bescheid auf die von Arzneimittelherstellern im zentralisierten Verfahren gestellten Zulassungsanträge. Sie fungiert in den dezentral geführten Antragsverfahren als Schlichtungsstelle, wenn sich beteiligte Behörden der EU/EWR-Länder in der Bewertung des Arzneimittels nicht einig sind.

Das **BASG - Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen** ist für die Genehmigung in Österreich zuständig (<http://www.basg.gv.at>).

Die Zulassung sichert, dass ein ausgewogenes Verhältnis zwischen der Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels besteht und dass alle für die Behandlung notwendigen Informationen für den Anwender zur Verfügung stehen.

Wer kann Klinische Studien durchführen?

Bei Arzneimittel-Prüfungen sind in der Regel Pharmaunternehmen Auftraggeber.

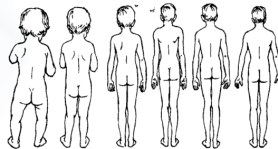
Aber auch Ärztinnen und Ärzte an den Universitäten und Spitälern können Studien veranlassen. Sorgfältig geplante klinische Studien sind die sicherste Art neue Behandlungsmethoden zu finden und zu etablieren.

Ärztinnen und Ärzte, sowie das gesamte Studienteam sind mit der Durchführung von klinischen Studien und bewährten Therapieformen bestens vertraut.



Warum Studien bei Kindern?

Im Laufe der Entwicklung ändern sich Körperbau und Stoffwechsel. Somit unterscheidet sich der kindliche Organismus von dem der Erwachsenen, weswegen auch Medikamente bei Kindern andere Auswirkungen haben können.



Medikamente an Kindern müssen eigens geprüft werden, um

- die richtige Dosis
- Wirkungen
- Nebenwirkungen

systematisch festzustellen.

Fehlen solche Informationen, können Medikamente bei Kindern unwirksam oder unsicher sein.

Ein Großteil der derzeit bei Kindern eingesetzten Medikamente ist nie an Kindern geprüft worden und nicht für Kinder zugelassen.

Obwohl es sich meistens um bereits zugelassene Medikamente handelt, sind Pharmafirmen nunmehr durch neue Europäische Gesetze verpflichtet, Medikamente speziell an Kindern zu prüfen und für Kinder zuzulassen.

Auch die Kleinsten?

Im Neugeborenenalter ist dieses Problem besonders ausgeprägt:

Mehr als 90% aller auf der neonatologischen Intensivstation angewendeten Medikamente wurden nie an der speziellen Patientengruppe von Frühgeborenen und kranken Neugeborenen getestet.



Auch für diese Patientengruppe sind somit klinische Studien eine Chance, bestehende Therapien sicherer zu machen und neue Therapien zu ermöglichen.

Welche Vorteile bieten Klinische Studien?



Von der Teilnahme an klinischen Studien können Ihr Kind und andere Patientinnen und Patienten jetzt und in Zukunft profitieren.

Die teilnehmenden Kinder und Jugendlichen erfahren während der Studie eine ausgezeichnete medizinische Betreuung:

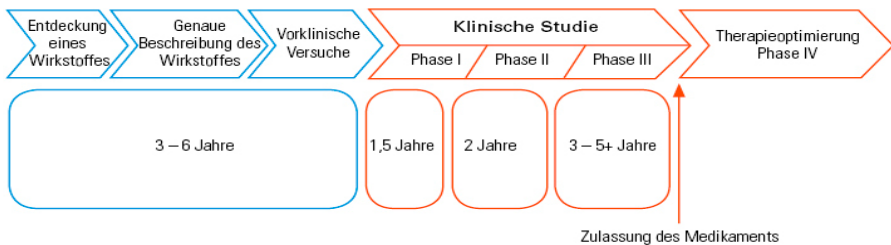
- In bestimmten Zeitabständen erfolgen zusätzliche ärztliche Untersuchungen, möglicherweise auch mit zusätzlichen Laboruntersuchungen.
- Ihr Kind wird eventuell schon früher mit einem Medikament behandelt, das den neuesten medizinischen Erkenntnissen entspricht.

- Die Behandlung erfolgt entweder mit einem aussichtsreichen neuen Medikament, das sich in der Regel bei Erwachsenen schon bewährt hat, oder mit der besten zugelassenen Therapie (die in der Regel das Ergebnis früherer Studien ist).
- Es gibt aber auch seltene Erkrankungen, die bereits im Kindesalter beginnen und für die bisher keine spezielle Behandlung entwickelt wurde. In solchen Fällen muss ein neuartiges Medikament auch erstmalig am Kind geprüft werden.

Wie wird ein Medikament für Kinder bzw. Jugendliche entwickelt?

Die Entwicklung neuer Medikamente ist ein langer Prozess, der in verschiedenen Phasen abläuft.

- Präklinische Studien
- Klinische Arzneimittelprüfungen
 - o Phase-I-Studie
 - o Phase-II-Studie
 - o Phase-III-Studie
 - o Phase-IV-Studie



Präklinische Studien

In präklinischen Studien wird zunächst nach Wirkstoffen mit möglichem therapeutischem Effekt gesucht. Danach wird intensiv in Laborversuchen, Zellkulturen und dann an Tieren getestet. Nur wenn sich Wirkstoffe in diesen Versuchsreihen als wirksam erwiesen haben, wird der Wirkstoff weiter entwickelt.

Dabei wird vor allem auf mögliche Nebenwirkungen geachtet. Besonders wird ein möglicher Zusammenhang von Medikamentengabe und dem Auftreten von Krebserkrankungen (**Kanzerogenität**), Missbildungen (**Teratogenität**),

Schädigungen am Erbgut (**Mutagenität**) überwacht sowie unerwünschte Auswirkungen auf die Organe und die Entwicklung (**Toxizität**) beobachtet.

Sobald sich eine Substanz als sicher und erfolgsversprechend erweist, wird die **klinische Arzneimittelprüfung** am Menschen geplant.

Eine klinische Arzneimittelprüfung am Menschen setzt sich aus verschiedenen Phasen zusammen.

Phase I

Die Phase I einer klinischen Studie überprüft die **Verteilung des Arzneimittels im Körper und seine Verträglichkeit**. Diese wird nur an wenigen Teilnehmerinnen und Teilnehmern überprüft. Es werden vor allem die verabreichte Menge (Dosis), deren Aufnahme und Verteilung im Körper als auch Reaktionen des Körpers auf das Arzneimittel beobachtet.

Für die ausgewählte Substanz werden in der Folge unterschiedliche Darreichungsformen entwickelt. Dazu gehören **Flüssigkeiten für Spritzen und Infusionen, Säfte oder Tabletten zum Schlucken oder Sprays zum Inhalieren**.



Studien sind auch für die **ordnungsgemäße Zulassung bei schon geprüften und zugelassenen Substanzen notwendig**, wenn diese in einer kindgerechten Form, das sind geeignete Tablettengrößen oder Säfte, entwickelt werden.



Je nach Art der Substanz wird sie an freiwilligen Erwachsenen geprüft oder an Erwachsenen mit einem fortgeschrittenem Erkrankungsbild.

Eine Phase I Studie erfolgt bei Kindern nur in seltenen Fällen, wo eine Erkrankung ausschließlich im Kindesalter auftritt. Das ist zum Beispiel bei Stoffwechselstörungen der Fall, wo Ersatztherapien nur an tatsächlich Betroffenen überprüft werden können.

Phase II

Aufbauend auf den Ergebnissen der Phase I wird das Arzneimittel in einer Phase II an einer größeren Patientengruppe getestet.

In der Phase II Studie soll die **Wirksamkeit** des neuen Arzneimittels weiter überprüft werden. Die Teilnahme von erkrankten Kinder und Jugendlichen an einer Phase II Studie wird sorgfältig ausgewählt. Dabei sind spezifische, für jede Studie festgelegte Ein- und Ausschlusskriterien zu beachten (z. B. Altersgruppe, Stadium der Erkrankung).

Die Behandlungsdauer ist meist kurz.

Phase III



An Phase III Studien ist eine **große Anzahl an Patientinnen und Patienten** (mehrere hundert bis zu tausend) über einen längeren Zeitraum beteiligt. **Hier erfolgt der Beweis der Wirksamkeit eines neuen Medikamentes.** Ein **positives Ergebnis führt zur Zulassung durch die zuständige Behörde.**

Kinderstudien können vor allem bei seltenen Erkrankungen oft nur mit einer relativ kleinen Zahl betroffener Kinder und / oder Jugendlicher durchgeführt werden (unter 100).

Bei häufigen Erkrankungen sowie Studien zu Impfungen werden hohe Einschusszahlen angestrebt. Die größte dieser Art war eine Phase III Studie mit 65.000 Kindern, wo ein Impfstoff gegen Rotaviren, die Durchfall auslösen, getestet wurde.

Um die Wirksamkeit zu bestätigen und auch um Nebenwirkungen systematisch zu erfassen, werden zumindest zwei parallele Gruppen verglichen. Eine Gruppe erhält das zu prüfende neue Medikament und die Kontrollgruppe die Standardbehandlung.

Falls es keine bewährte Standardbehandlung gibt, wird ein Scheinmedikament ohne wirksame Inhaltsstoffe (Placebo) eingesetzt. Placebo wird bei Kindern und Jugendlichen sehr selten und nur ausnahmsweise eingesetzt. Sollte ein solches Placebo in einer Studie Einsatz finden, wird immer ausdrücklich darauf hingewiesen. Der Einsatz eines Placebos erfolgt nur, wenn daraus keine unzumutbare Belastung für das Kind entsteht.

Phase IV

Auch nach erfolgreicher Zulassung wird ein Arzneimittel weiter geprüft und überwacht. Während einer Phase IV Studie soll die Frage **„Kann die Behandlung noch verbessert werden?“** beantwortet werden.

Die **Beobachtung seltener Nebenwirkungen** sowie **Wechselwirkungen** mit **anderen Medikamenten** erfolgt nun in größeren Erkrankungsgruppen über längere Dauer.

Welches Studiendesign wird gewählt?

Eine erfolgreiche Medikamentenentwicklung im Kindesalter ist immer auf die Bereitschaft von Eltern und ihren Kindern angewiesen.

Das Studiendesign entscheidet wesentlich darüber, wie aussagekräftig die erhaltenen Daten sind.

Folgende Begriffe werden zum Beschreiben einer Studie verwendet.

- **Randomisiert:**

Die Entscheidung, welche Patientinnen und Patienten welcher Therapie zugeordnet werden, erfolgt nach dem **Zufallsprinzip** (Steuerung über einen Computer, nach einem hinterlegtem und statistisch festgelegtem "Verteilungsprinzip"). So wird eine **ausgewogene Zuordnung zu den Behandlungsarmen** erreicht, die eine Vergleichbarkeit sicherstellt.



- **Placebo-kontrolliert:**

Zum Vergleich erhält eine Behandlungsgruppe den Wirkstoff, die andere ein Scheinmedikament (Placebo), das keinen Wirkstoff enthält. Damit werden **auf Erwartungshaltung beruhende Wirkungen**, von den tatsächlichen Arzneimittelwirkungen abgegrenzt. Der Einsatz eines Placebos bei Kindern und Jugendlichen findet, wie bereits erwähnt, sehr selten statt.

- **Doppelblind:**

Weder das Behandlungsteam noch Patientinnen und Patienten oder deren Familien wissen, ob es sich bei der angewandten Therapie um die Standardtherapie oder die Prüfsubstanz handelt. **Dabei werden die Medikamente kontrolliert in neutralen Verpackungen und vergleichbaren Zubereitungen angeboten.** Dadurch werden Ergebnisse nicht durch Erwartungshaltungen verfälscht.

- **Aktiv kontrolliert:**

Das Behandlungsteam, Patientinnen und Patienten sowie deren Familien wissen über die Zuordnung zum Therapiearm Bescheid. Auch hier wird der zu testende neue Wirkstoff gegen das etablierte Medikament geprüft um Wirkung und Verträglichkeit miteinander vergleichen zu können.

Wie viele Patientinnen und Patienten nehmen an der Studie teil?

Das Studienprotokoll legt die Zahl genau fest. Um die Fragestellung der Studie aussagekräftig beantworten zu können, ist je nach Typ der Studie eine unterschiedliche Zahl an Patientinnen und Patienten erforderlich.



Um die nötige Teilnehmerzahl in einer Studie zu erreichen werden Kinder und Jugendliche mit demselben Krankheitsbild oftmals aus vielen verschiedenen Kliniken - innerhalb Europas und manchmal sogar weltweit - aufgenommen.

Wie werden Behandlungsmethoden verbessert?



Nicht immer werden Studien durch ein pharmazeutisches Unternehmen in Auftrag gegeben um ein Arzneimittel zu prüfen.

Um Behandlungsmethoden zu verbessern, werden Studienkonzepte auch von Ärztinnen und Ärzten geplant und durchgeführt.

Ziel ist dabei immer die Behandlung zu verbessern, um Heilungschancen zu erhöhen und Lebensqualität zu steigern.

In der Regel eignen sich Wirkstoffe, die bei Erwachsenen erfolgreich eingesetzt werden, auch zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen. Dennoch braucht es zusätzliche klinische Studien, um die richtige Dosierung für jede Altersgruppe gemäß Qualitätsvorgaben zu überprüfen.

Das führt zu unterschiedlichen Dosierungsangaben entweder auf das Körpergewicht oder auf die Altersgruppe bezogen (Säuglinge, Kleinkinder, Schulkinder, Jugendliche).

Eigene Studien mit Patientinnen und Patienten verschiedener Altersgruppen werden seit 2007 auch von der europäischen Verordnung für Kinderarzneimittel verlangt.

Jährlich finden in Österreich rund 250 klinische Studien statt. An rund 30 davon sind ausschließlich Kinder und Jugendliche beteiligt (<http://www.basg.gv.at>)



Wer kann an einer Studie teilnehmen?

- Im Studienprotokoll ist genau festgelegt, welche Voraussetzungen ein Kind erfüllen muss: Alter, Art und Stadium der Erkrankung spielen hier eine wichtige Rolle. Nur wenn die jeweiligen **Einschlusskriterien** zutreffen, darf eine Patientin oder ein Patient an der Studie teilnehmen.
- Zusätzlich gibt es auch noch **Ausschlusskriterien**, die eine Teilnahme nicht erlauben. Dazu zählen z.B. Vorerkrankungen, bestehende Organbelastungen oder andere Medikamenteneinnahmen.

Wie läuft die klinische Studie ab?

Studien mit Kindern folgen den gleichen Richtlinien:

- Zunächst werden Sie als Eltern von dem behandelnden Ärzteteam informiert, dass es eine Studie mit Fragestellungen zum Krankheitsbild Ihres Kindes gibt.
- Unabhängig von der Phase einer Studie erfolgt immer zunächst ein ausführliches Aufklärungsgespräch durch ihre/ihren behandelnde/behandelnden Ärztin oder Arzt. Es wird Ihnen genau erklärt, wie die Erkrankung nach derzeitigem Wissensstand behandelt wird. Sie und - altersabhängig - auch Ihr Kind, werden genauestens über den Ablauf der Studie, den Sinn und Zweck, die Dauer, den Nutzen und die Risiken aufgeklärt.
- Im Laufe des Gesprächs wird Ihnen die Chance gegeben, weitere Fragen zu stellen. Es gibt auch die Möglichkeit und ausreichend Zeit, über die Studienteilnahme nachzudenken.
- Einen Überblick zur Studie, mit allen wichtigen Informationen, erhalten Sie zudem in Form einer schriftlichen Elterninformation.
- Wenn Sie sich zu einer Teilnahme an der Studie entschließen, unterschreiben Sie gemeinsam mit Ihrer/Ihrem Ärztin/Arzt eine entsprechende Einwilligungserklärung. Erst wenn die Einwilligungserklärung unterzeichnet ist, kann Ihr Kind in die Studie aufgenommen werden.
- Die Aufklärung für ihr Kind erfolgt immer altersentsprechend. Für Kinder ab dem schulpflichtigen Alter gibt es immer auch eine dem Alter entsprechende Patienteninformation.



- Bei Kindern im Vorschulalter muss die Einwilligungserklärung nur von einem Elternteil unterzeichnet werden. Kinder ab dem Vorschulalter unterschreiben zusätzlich einen altersentsprechenden Aufklärungsbogen. Es ist wichtig, dass auch ihr Kind der Studienaufnahme positiv gegenüber steht.



- Sie können die Einwilligungserklärung jederzeit und ohne Angaben von Gründen zurückziehen.
- Sollten Sie sich gegen die Teilnahme an der Studie entscheiden, wird das Behandlungsteam Ihre Entscheidung respektieren und Ihr Kind gemäß geltender Therapieempfehlungen behandeln.
- Bei der **Einschlussuntersuchung** wird überprüft, ob Ihr Kind die Kriterien der Studie erfüllt und ob es daran teilnehmen kann. Damit wird sichergestellt, dass der Prüfplan genau eingehalten wird und kein Kind irrtümlich eingeschlossen und unnötigen Belastungen durch Therapie oder begleitende Untersuchungen ausgesetzt wird.
- Zu Studienbeginn wird, je nach Art der Studie, genau festgelegt, wie das jeweilige Medikament verabreicht wird oder das zu prüfende Medizinprodukt (z. B. Inhalatoren bei Asthmatherapien) angewendet wird.
- **Das Studienteam beobachtet sorgfältig** den Verlauf der Studie sowie die **Medikamentenverträglichkeit** und dokumentiert die Ergebnisse.
- Manchmal sind **Fragebögen** zu beantworten oder es ist erforderlich ein **Patiententagebuch** zu führen, um zu dokumentieren wie es ihrem Kind mit der Studienmedikation geht, wenn es nicht unter Spitalsbeobachtung steht.

- Im Verlauf der Studie wird Ihr Kind zu regelmäßigen **Zwischenuntersuchungen** eingeladen. Wenn die Anwendung des Medikaments insgesamt zufriedenstellend verläuft, verbleibt Ihr Kind in der Studie bis zum geplanten Ende. Die jeweilige Behandlung in einer Studie kann unterschiedliche Zeiträume umfassen, von einigen Wochen bis zu mehreren Monaten.
- Nach dem Ende der Behandlungsphase wird Ihr Kind bei einer **Abschlussuntersuchung** nochmals genau untersucht und sein Gesundheitszustand mit dem vor Behandlungsbeginn verglichen.
- Möglicherweise gibt es auch später noch **Nachuntersuchungen**, bei der die Langzeit-Therapieergebnisse festgestellt werden sollen.



Was ist die Alternative zur Studienteilnahme?

Ihr Behandlungsteam wird Sie über die Behandlungsmöglichkeiten informieren und Ihnen auch erklären, welche offenen Fragen bei der derzeitigen Standardbehandlung noch bestehen. Sie werden auch darüber aufgeklärt, welche Vorteile und Risiken eine mögliche Studienteilnahme im Vergleich mit der Standardbehandlung für Ihr Kind bedeuten.

Die Studienteilnahme ist freiwillig und die Entscheidung obliegt den Erziehungsberechtigten und betroffenen Kindern, wenn sie alt genug sind. Hier gelten die gesetzlichen Richtlinien gemäß AMG §42 Absatz 5.



Patienten ab dem 14. Lebensjahr gelten als mündige Minderjährige und können eigenständig eine Therapie ablehnen. Bei jüngeren Kindern wird von einer Abstimmung innerhalb der Familie ausgegangen. Für welche Behandlung Sie sich auch immer entscheiden, Ihr Kind wird nach bestem Wissen und Gewissen

behandelt werden. Nach dem Gespräch haben Sie und Ihr Kind Zeit sich zu entscheiden.

Absage nach Zusage? Ist das erlaubt?

Wenn Sie oder Ihr Kind es für besser halten, die Teilnahme vorzeitig zu beenden, können Sie die Einwilligungserklärung jederzeit ohne Angabe von Gründen zurückziehen. Bitte teilen Sie dies dem Studienärztin bzw. dem Studienarzt mit bevor Sie die Medikamentengabe eigenmächtig stoppen.

Das Studienteam darf Sie oder Ihr Kind nicht zur Fortsetzung der Studie auffordern und wird Ihr Kind nach einer bewährten Methode weiterbehandeln. Ihrem Kind und Ihnen darf durch den Studienabbruch kein Nachteil entstehen!

Wie werden Kinder in klinischen Studien geschützt?

- **Zahlreiche Gesetze und Richtlinien** stellen den Schutz der Studienteilnehmer sicher. Bevor die Studie in den medizinischen Einrichtungen startet durchläuft sie mehrfache kritische Prüfungen. Nur Studien die medizinisch und ethisch für einwandfrei erklärt wurden, werden von Studienteams angeboten.
- **Der Prüfplan** ist die genaue Beschreibung der Studie und deren Durchführung. Dieser wird vor Start der Studie von der zuständigen **Ethikkommission** sowie der zuständigen Behörde in Österreich (**Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen**) genauestens geprüft und bewilligt. Für Kinder und Jugendliche gelten dabei besondere Schutzmaßnahmen. Im Prüfplan wird erklärt, wie die Kinder oder Jugendlichen in der jeweiligen Studie behandelt werden sollen und wie für ihre Sicherheit gesorgt wird. Im Prüfplan steht auch, was man bislang im Labor und in Studien schon über das Medikament herausgefunden hat.
- Von der pharmazeutischen Industrie beauftragte Arzneimittelstudien mit Kindern zur Zulassung eines Medikaments werden im Vorfeld von der **Pädiatrischen Kommission der Europäische Arzneimittel Agentur** geprüft. Dort wird festgestellt, ob gute Aussichten bestehen, dass das Medikament bei Kindern einen Fortschritt für die Behandlung bringen könnte.

- Eine **Ethikkommission für klinische Forschung** setzt sich aus **Medizern, Naturwissenschaftlern, Juristen und Theologen sowie Vertretern von Patienten** zusammen. Ziel ist die Beurteilung von Forschungsvorhaben aus ethischer, rechtlicher und sozialer Sicht sowie das Abschätzen des möglichen Risikos für Kinder und Jugendliche in einer Studie.

Weiters kontrolliert die Ethikkommission ob die medizinische Einrichtung geeignet ist eine Studie durchzuführen. Ebenso wird die Qualität von Studienärztinnen bzw. der Studienärzten überprüft.

Die Texte der Aufklärungsbögen werden auf Verständlichkeit und Vollständigkeit begutachtet.

- Studien mit Minderjährigen müssen so geplant sein, dass die Belastungen so gering wie möglich gehalten werden. Untersuchungen dürfen nicht öfter als zwingend notwendig durchgeführt werden. Blutentnahmen werden nur – soweit nötig – geplant. Ihre Ärztin /Ihr Arzt werden jeden Schritt erklären und sich bemühen Ihrem Kind die Angst zu nehmen.
- Die Behörden und Ethikkommissionen überwachen alle laufenden, genehmigten Studien. Sie werden bei Auftreten ernsthafter Nebenwirkungen eine Studie abbrechen.



Im Rahmen einer klinischen Studie wird für alle Teilnehmer eine **Versicherung** abgeschlossen. Sollte es trotz aller Vorsichtsmaßnahmen während der Behandlung oder während der Nachbeobachtungsphase zu gesundheitlichen Beeinträchtigungen kommen, sind diese durch die Versicherung abgedeckt. Einzelheiten zur Versicherung entnehmen Sie der Patienteninformation oder erfragen Sie bei Ihrer Ärztin / Ihrem Arzt.

- Sollten Sie Bedenken im Hinblick auf die Sicherheit oder die Wirksamkeit der Behandlung haben, können Sie die Teilnahme an der Studie jederzeit beenden. Die Behandlung wird mit der Standardtherapie fortgesetzt.

Welche Rechte und Pflichten bestehen in einer Studie?

Als Eltern der Studienpatienten haben Sie ein Recht auf:

- Aufklärung und Beratung
- eine zweite ärztliche Meinung
- angemessene und qualifizierte Versorgung Ihres Kindes
- Selbstbestimmung, Vertraulichkeit
- Offenlegung der Patientenakte
- Dokumentation
- Schadenersatz

Durch Ihre Teilnahme haben Sie auch Pflichten:

- Mit Ihrer Unterschrift auf der Einwilligungserklärung stimmen Sie der vorgesehenen Behandlung Ihres Kindes zu. Die vereinbarten Behandlungs- und Kontrolltermine sind einzuhalten.
- Sie haben Informationspflicht gegenüber Ihrer/Ihrem Ärztin/Arzt über gesundheitliche Veränderungen und Auffälligkeiten Ihres Kindes.
- Sie haben Meldepflicht, wenn das Kind zusätzliche Medikamente einnimmt oder Therapien erhält, die nicht Teil des Studienplans sind.
- Falls erforderlich, haben Sie Fragebögen gewissenhaft auszufüllen.
- Bei einem Notfall oder einer Spitalsaufnahme Ihres Kindes, müssen Sie unverzüglich Kontakt mit der Studienärztin/dem Studienarzt aufnehmen.
- Informieren Sie das Studienteam über alle Nebenwirkungen, die Ihrer Meinung nach auf das Prüfpräparat zurückzuführen sein könnten.
- Alle nicht in die Studie einbezogenen Ärzte müssen über die Teilnahme Ihres Kindes an der klinischen Studie in Kenntnis gesetzt werden. Falls erforderlich, geben Sie diesen Ärzten auch die Kontaktdaten des Studienarztes bekannt.
- Falls Sie dazu aufgefordert werden, führen Sie ein Tagebuch über die Behandlungserfahrung Ihres Kindes

Welche Daten werden in klinischen Studien gesammelt und was passiert mit ihnen?

Während der Behandlung Ihres Kindes wird eine Patientenakte angelegt. In diese werden alle Ergebnisse der Eingangs-, Zwischen- und Abschlussuntersuchungen eingetragen. Zudem wird die erhaltene Behandlungsstrategie genau dokumentiert. Außerdem werden Ergebnisse spezieller Tests sowie Hinweise auf jede Art von Nebenwirkungen erfasst.



Für die Studienauswertung wird ein Teil der Daten an den Studienauftraggeber oder zur Analyse an Statistiker versandt.

Die Weitergabe der Daten erfolgt in verschlüsselter Form, das heißt, der **Name von Patientinnen oder Patienten** wird durch einen **Code** ersetzt.

Nur ausgewählte Studienmitarbeiter haben den Schlüssel zu diesem Code. Man spricht von „**indirekt personenbezogenen**“ Daten.

Im Normalfall werden die indirekt personenbezogenen Daten von folgenden Personengruppen gelesen:

- von Fachleuten des Auftraggebers der Studie,
- von Studienmonitoren – das sind Personen, die an Kliniken oder Arztpraxen die Richtigkeit der Studiendurchführung und der erhobenen Daten überprüfen,
- von Fachleuten der Behörde, welche die Studie überwacht,
- von Fachleuten der Arzneimittelbehörde, welche die Studie genehmigt hat oder die entscheiden muss, ob das untersuchte Medikament künftig von allen Ärzten für Minderjährige verordnet werden darf,
- möglicherweise von Fachleuten aus wissenschaftlichen Instituten oder Firmen zur weiteren wissenschaftlichen Auswertung nach der Erstausswertung.

Der Zugang zu den Daten einzelner Teilnehmer ist streng reglementiert. Sämtliche Mitarbeiter in den Gesundheitsinstitutionen, die Zugang zu den Daten haben, unterliegen der Schweigepflicht und sind verpflichtet, die Daten Ihres Kindes vertraulich zu behandeln. Für die Aufbewahrung der Daten gelten strenge Datenschutzbestimmungen. Der Schutz der Daten bleibt somit gewährt.

Warum haben genetische Begleituntersuchungen eine Bedeutung?

Jeder Mensch ist anders; zwei Patienten mit derselben Krankheit können unterschiedlich auf das gleiche Medikament reagieren. Neben unterschiedlichen Umwelteinflüssen durch den Lebensstil spielen auch die Gene eine Rolle.



Diesen Tatsachen werden zunehmend in klinischen Studien zur Prüfung von Arzneimitteln Rechnung getragen.

Ob ein Medikament bei Ihrem Kind wirkt oder wie gut es vertragen wird, kann von der genetischen Veranlagung abhängen. Deshalb werden bei klinischen Studien auch Genanalysen durchgeführt.

Ziel ist es, auf Basis von so genannten „pharmakogenetischen“ Analysen, Medikamente auf bestimmte Patientengruppen bestmöglich anzupassen und Nebenwirkungen zu reduzieren.

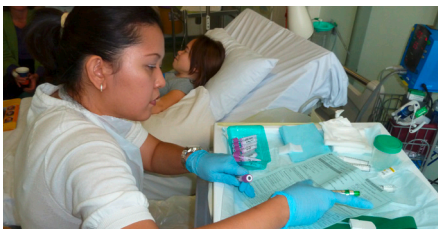
Sollte eine solche Fragestellung in der Ihnen angebotenen Studie vorliegen, werden Sie ausdrücklich darauf hingewiesen.

Sind spezielle Einwilligungen für genetische Untersuchungen notwendig?

Für genetische Begleituntersuchungen ist eine spezielle Einwilligungserklärung der Eltern und/oder des Kindes notwendig. Die Daten aus der genetischen Untersuchung dürfen nur für Forschungszwecke verwendet werden, denen Sie und Ihr Kind zugestimmt haben. Sie haben jederzeit das Recht Ihre Einwilligung zurückzuziehen.

Um die Qualität und Sicherheit des Studienpräparates und der Studienteilnehmer zu gewährleisten, ist die Behörde, das BASG Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen, berechtigt, Einsicht in die Daten von genetischen Untersuchung zu nehmen.

Laut Datenschutzgesetzen müssen die gewonnenen Daten sowie die Gewebe, mit denen die Untersuchung durchgeführt wurden, nach Abschluss der Studie noch 15 Jahre sicher verwahrt werden.



Wie läuft eine genetische Untersuchung ab?

Für die genetische Untersuchung wird entweder ein Abstrich der Mundschleimhaut, eine Blutabnahme oder eine Gewebeprobe genommen. Bei einer Studie werden Daten von vielen Patienten gesammelt. Am Ende der Studie wird innerhalb der Gruppe der Teilnehmer, die das Studienmedikament gut vertragen haben, nach vergleichbaren Mustern in den Genen gesucht. Diese Tests helfen, Arzneimittel zu entwickeln, die sicherer und wirksamer sind.

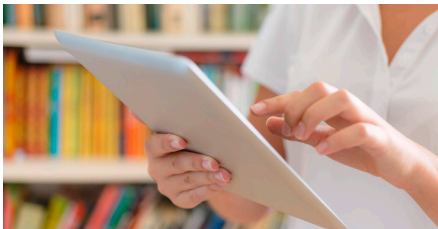
Dank dieser sogenannten „**personalisierten Medizin**“ ist es möglich, ein besseres Behandlungsergebnis und damit eine höhere Lebensqualität zu erzielen.

Wo und wann werden Studienergebnisse veröffentlicht?

Am Ende der Studie werden die indirekt personenbezogenen Behandlungsdaten ausgewertet. Dabei erkennt man nicht von welchem Patienten die Daten stammen. Es sind nur Gegenüberstellungen von Vergleichsgruppen und dem untersuchten Medikament nachvollziehbar.

In der Auswertung zeigt sich, ob verglichene Behandlungen im Schnitt gleichwertig sind oder ob eine ein besseres Ergebnis erzielt. Ebenso wird die Zahl der Nebenwirkungen in den Behandlungsarmen ausgewertet und beurteilt.

Forschende Pharma-Unternehmen haben sich verpflichtet, die Ergebnisse jeder von ihnen beauftragten Patientenstudie zu veröffentlichen, wenn das erprobte Präparat zugelassen wird.



Die Studienergebnisse werden im Internet und in medizinischen Fachzeitschriften veröffentlicht. Die Daten einzelner Patienten kommen darin nicht vor.

Wenn Sie oder Ihr Kind das Ergebnis Ihrer Studie interessiert, wenden Sie sich am besten an die Ärztin oder den Arzt die sie betreut haben. Allerdings dauert es in der Regel viele Monate, bis die Ergebnisse einer Studie veröffentlicht sind; manchmal sogar Jahre, wenn die Studie über einen Zeitraum von mehreren Jahren angelegt ist.

Ein neues europäisches Gesetz fordert zudem auch die Zusammenfassung von Studienergebnissen in einer für Laien verständlichen Sprache nach Studienende. Die Veröffentlichung erfolgt im EudraCT -Register (<https://www.clinicaltrialsregister.eu/>).

Wer beantwortet weitere Fragen?



Diese Broschüre kann klinische Studien nur allgemein darstellen. Für spezifische Studienanfragen wenden Sie sich bitte an Ihr Behandlungsteam.

Für dieses Gespräch hier noch ein paar Empfehlungen:

- Notieren Sie sich alle Fragen, die Sie und Ihr Kind nach dem Durchlesen der Patienteninformation zur Studie noch haben.
- Vereinbaren Sie mit der Ärztin oder dem Arzt einen Gesprächstermin, damit das Gespräch in einer ruhigen Umgebung stattfinden kann.
- Wenn Sie wollen, können Sie eine Person Ihres Vertrauens zu diesem Gespräch mitbringen.
- Nehmen Sie sich Papier und Stift mit, um wichtige Informationen aus dem Gespräch zu notieren.
- Fragen Sie sofort nach, falls Sie etwas nicht verstehen. Es ist Ihr Recht, alles verständlich erläutert zu bekommen. Das gilt natürlich auch für Ihr Kind.
- Besprechen Sie am besten alles zu Hause in Ruhe, und lassen Sie Fragen oder Unsicherheiten Ihres Kindes zu. Gerade jüngere Kinder trauen sich manchmal nicht, eine Ärztin oder einen Arzt direkt etwas zu fragen.

Weitere Ansprechpartner finden Sie bei folgenden Einrichtungen:

- beim Auftraggeber der Studie – wer das ist und wen Sie dort kontaktieren können, steht im Aufklärungsschreiben zur Studie.
- bei den Kontaktstellen zu klinischen Studien beim Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen

Hier können Sie sich über Arzneimittel und Medizinprodukte informieren. Bei Fragen kontaktieren Sie bitte basg_anfragen@ages.at
In den Aufklärungsschreiben der jeweiligen Studie sind weitere Kontaktstellen sowie die regionale Patientenadvokatur angegeben.

Fragen, die Sie der Ärztin oder dem Arzt vielleicht stellen wollen

Was soll bei der Studie herausgefunden werden?

.....
.....

Wie aufwendig ist die Teilnahme für mich und mein Kind? Wie lange dauert die Studie?

.....
.....

Welche Vorteile oder Nachteile können sich durch die Teilnahme ergeben?

.....
.....

Welche Einschränkungen muss mein Kind zu Beginn oder während der klinischen Studie hinnehmen?

.....
.....

Woran merkt man, dass das Medikament, das in der Studie erprobt wird, bei meinem Kind wirksam ist?

.....
.....

Was sind die Ergebnisse aus früheren klinischen Studien zu diesem Medikament?

.....
.....

Welche Nebenwirkungen sind bei dem Medikament bereits bekannt?

.....
.....

Wer wird mein Kind während der Studie betreuen?

.....
.....

Wen kann ich im Notfall oder bei Fragen anrufen?

.....
.....

Wie wird mein Kind nach Studienende weiterbehandelt?

.....
.....

Kann es mit dem gleichen Medikament weiterbehandelt werden?

.....
.....

Muss mein Kind auch nach Abschluss der Behandlung noch zu Nachuntersuchungen ins Krankenhaus oder die Praxis kommen?

.....
.....

Was geschieht mit den persönlichen Daten?

.....
.....

Kann ich später die Ergebnisse der Studie bekommen und (wenn die Studie verblindet war) erfahren, mit welchem Medikament mein Kind behandelt wurde?

.....
.....



DANKSAGUNG

Unterstützt durch die Pharmig – Verband der pharmazeutischen Industrie Österreichs. Gefördert aus den Mitteln „Gemeinsame Gesundheitsziele aus dem Rahmen-Pharmavertrag, eine Kooperation von österreichischer Pharmawirtschaft und Sozialversicherung“.



Gegründet als eine Tochter der Österreichischen Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde:



Unterstützt von folgenden Firmen im Rahmen einer Vereinbarung mit der Pharmig (Verband der pharmazeutischen Industrie Österreichs).



A. MENARINI PHARMA



Weitere unterstützende Unternehmen:



