

BESONDERE HERAUSFORDERUNGEN BEI DER ERFORSCHUNG UND ERPROBUNG SELTENER ERKRANKUNGEN

Die Entwicklung und Erprobung von Medikamenten zur Therapie Seltener Erkrankungen ist mit besonderen Herausforderungen verbunden:

5. Wirtschaftliche Herausforderungen

Die Erforschung, Entwicklung und Erprobung von neuen Wirkstoffen braucht viel Zeit und ist mit hohen Kosten verbunden. Das gilt für Orphan Drugs wie für andere Arzneimittel auch.

4. Erschwerte Definition der Ein- und Ausschlusskriterien

Wegen der kleinen Anzahl möglicher Studienteilnehmer*innen müssen die Kriterien besonders streng sein, um zuverlässige Ergebnisse zu erreichen – wodurch in der Regel noch weniger Proband*innen/Patient*innen für die Teilnahme in Frage kommen.

Referenzen: 1) www.bundesgesundheitsministerium.de/themen/praevention/gesundheitsgefahren/seltene-erkrankungen.html; 2) www.iqwig.de/de/presse/pressemitteilungen/seltene-erkrankungen-kein-grund-fur-niedrigere-anspruche-an-studien.6343.html; 3) www.pharma-fakten.de/news/details/739-mit-forschung-gegen-seltene-erkrankungen; 4) www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/woran-wir-forschen/orphan-drugs-medikamente-gegen-seltene-erkrankungen.html

1. Hoher Forschungsbedarf
Oft sind die Ursachen der Erkrankungen nicht umfassend bekannt.

2. Geringe Anzahl von Patient*innen
Nur wenige Menschen stehen für klinische Studien zur Verfügung.

3. Überregionale Verteilung
Wenige Patient*innen, spezialisierte Ärzt*innen und Forscher*innen sind über die ganze Welt verteilt. Das erschwert nicht nur die medizinische Versorgung, sondern auch die Durchführung von Studien.

Eine Publikation der eleva GmbH · Hans-Bunte-Str. 19 · 79108 Freiburg
Tel. +49 761 470 99 0 · medical@elevabiologics.com · www.elevabiologics.com

WIE FUNKTIONIEREN KLINISCHE STUDIEN BEI SELTENEN ERKRANKUNGEN?



SELTEN, ABER WEIT VERBREITET

In der Europäischen Union gilt eine Erkrankung als selten, wenn nicht mehr als 5 von 10.000 Menschen von ihr betroffen sind. Da es 7.000 bis 8.000 unterschiedliche Seltene Erkrankungen gibt, ist die Gesamtzahl der Betroffenen dennoch hoch. Allein in Deutschland leben Schätzungen zufolge etwa vier Millionen Menschen mit einer Seltenen Erkrankung. In der gesamten EU geht man von 30 Millionen Menschen aus.

LANGER WEG ZUR DIAGNOSE, KAUM THERAPIEOPTIONEN

Gerade wegen der Seltenheit der einzelnen Erkrankungen und der oft unspezifischen Symptome vergehen für die Betroffenen oft Jahre, bis eine richtige Diagnose gestellt wird. Auch mit der richtigen Diagnose ist eine gezielte Behandlung oft schwierig, da geeignete Therapien nur in wenigen Fällen zur Verfügung stehen. Derzeit gibt es nur für knapp 3 Prozent der bekannten Seltenen Erkrankungen zugelassene Medikamente.

FORSCHUNG FÜR NEUE THERAPIEN

Die Erforschung der Ursachen von Seltenen Erkrankungen und die Entwicklung geeigneter Medikamente hat in den letzten beiden Jahrzehnten große Fortschritte gemacht. Immer mehr Medikamente mit neuen Wirkstoffen schaffen den Weg zu den Patient*innen. 2018 erhielten 16 Arzneimittel, die auf den Markt kamen, den so genannten „Orphan Drug“-Status der EU. Zum Teil zielen sie auf Krankheiten ab, für die zuvor noch gar keine Therapien zur Verfügung standen. Damit lag der Anteil der Orphan Drugs an den Neueinführungen von Medikamenten mit neuem Wirkstoff in Deutschland bei 44 Prozent. 2017 waren es 29 Prozent, 2016 und 2015 je 33 Prozent. Doch trotz aller Fortschritte ist der medizinische Bedarf nach wie vor groß.

* Orphan Drug: Arzneimittel zur Behandlung von Seltenen Erkrankungen

VON DER IDEE ZUR THERAPIE

Bevor ein neues Medikament zugelassen und von Ärzten verschrieben werden kann, muss es ein umfangreiches prä- und klinisches Studienprogramm erfolgreich durchlaufen. Dies gilt auch für die

Orphan Drugs, die die gleichen Anforderungen an Sicherheit und Wirksamkeit erfüllen müssen, wie alle anderen Arzneimittel auch. Dieser Prozess dauert in der Regel 10 bis 12 Jahre.

Verzeichnisse aktuell durchgeführter klinischer Studien:

Deutsches Register Klinischer Studien (DRKS): www.drks.de

International Clinical Trials Registry Platform (ICTRP): www.who.int/ictip

U.S. National Library of Medicine (NLM): www.clinicaltrials.gov

OHNE STUDIEN-TEILNEHMER*INNEN KEINE FORSCHUNGSFortschritte

Die Ergebnisse einer Studie können dazu beitragen, neue Medikamente für eine bessere Behandlung zu entwickeln. Mit ihrer Teilnahme an klinischen Studien tragen Proband*innen oder Patient*innen langfristig zu einer besseren medizinischen Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen bei. Sie erhalten zudem Zugang zu den neuesten Therapien. Auch Patient*innen, die sonst schlechten oder keinen Zugang zu einer guten medizinischen Versorgung haben, genießen eine engmaschige Betreuung und regelmäßige Untersuchungen im Rahmen einer Studie.

EIN- UND AUSSCHLUSSKRITERIEN: WELCHE PROBAND*INNEN ODER PATIENT*INNEN KÖNNEN AN KLINISCHEN STUDIEN TEILNEHMEN?

Einschlusskriterien beschreiben die Anforderungen, die von Proband*innen oder Patient*innen erfüllt werden müssen, um für die Teilnahme an einer klinischen Studie in Frage zu kommen.

Ausschlusskriterien geben an, welche Merkmale Proband*innen oder Patient*innen von einer Teilnahme ausschließen. Sie werden maßgeblich von der zu untersuchenden Erkrankung bestimmt. Die Ausschlusskriterien dienen dem Schutz der Proband*innen oder Patient*innen vor gesundheitlichen Schäden, die zum Beispiel durch Begleiterkrankungen auftreten könnten. Ihre genaue Festlegung ist Voraussetzung dafür, dass eine Studie zuverlässige und auswertbare Ergebnisse liefern kann.

Erfüllt eine Proband*in oder Patient*in die Einschlusskriterien, erhält sie in einem Beratungs- und Aufklärungsgespräch detaillierte Informationen zur geplanten Studie und erklärt ihr Einverständnis zur Teilnahme („Einwilligung nach Aufklärung“). Patientenorganisationen können an diesem Verfahren beteiligt sein, indem sie an der Entwicklung von Einverständniserklärungen mitwirken.



Präklinische Prüfung

- ▶ Untersuchung an Tieren und/oder Zellen
- ▶ Prüfung von Wirkung und Nebenwirkungen



Forschung

- ▶ Erforschung der Ursachen von Krankheiten
- ▶ Entwicklung eines neuen Wirkstoffs im Labor



Klinische Prüfung

PHASE 2:

- ▶ Finden der richtigen Dosierung, Sicherheit und Verträglichkeit
- ▶ Mehrere Proband*innen/Patient*innen (Wochen bis Monate)



Klinische Prüfung

PHASE 1:

- ▶ Untersuchung der Sicherheit und Verträglichkeit
- ▶ Wenige Proband*innen/Patient*innen (Wochen bis Monate)



Klinische Prüfung

PHASE 3:

- ▶ Belegen der Wirksamkeit und Sicherheit
- ▶ Viele Proband*innen/Patient*innen (Monate bis Jahre)



ZULASSUNG



Anwendung in der Praxis

ARZNEIMITTELÜBERWACHUNG:

- ▶ Beobachtung und Kontrolle der Sicherheit



10–12 Jahre

Abbildung: Die Entwicklung eines neuen Medikaments