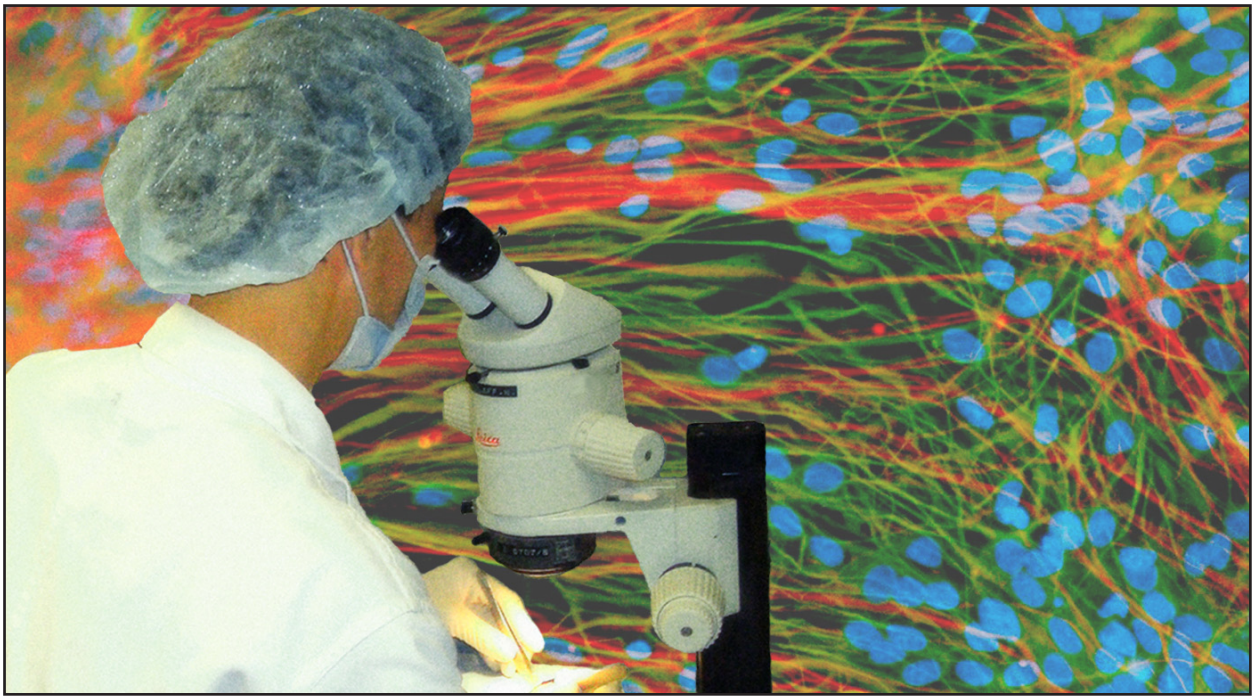
Experimentelle Therapien für Rückenmarksverletzungen:



Was Sie wissen sollten

wenn Sie an einer klinischen Studie teilnehmen möchten.

Ein Zusammenfassung für Menschen mit einer Rückenmarksverletzung, ihre Familien, Freunde und Betreuer.

Bereitgestellt von der

ICCP

International Campaign for Cures of spinal cord injury Paralysis

Die ICCP setzt sich aus den folgenden Mitgliedsorganisationen zusammen:

Christopher Reeve Foundation (USA) • Institut pour la Recherche sur la Moëlle épinière et l'Encéphale (Frankreich) • International Spinal Research Trust (Vereinigtes Königreich) • Fondation internationale pour la recherche en paraplégie (Schweiz) • Japan Spinal Cord Foundation • Miami Project to Cure Paralysis (USA) • Neil Sachse Foundation (Australien) • Paralyzed Veterans of America (USA) • Rick Hansen Foundation (Kanada) • Spinal Cure (Australien) • Wings for Life (Österreich)

Autoren

John D Steeves,[a] James W Fawcett,[b] Mark H Tuszynski,[c] Daniel Lammertse,[d] Armin EP Curt,[a] John F Ditunno,[e] Peter H Ellaway,[f] Michael G Fehlings,[g] James D Guest,[h] Naomi Kleitman,[i] Perry F Bartlett,[j] Andrew R Blight,[k] Volker Dietz,[l] Bruce H Dobkin,[m] Leif A Havton,[m] Robert Grossman,[n] Deborah J Short,[o] Masaya Nakamura,[p] Hiroyuki Katoh,[p] William P Coleman,[q] Manuel Gaviria,[r] Alain Privat,[r] Michael W Kalichman,[s] Cynthia Rask[t]

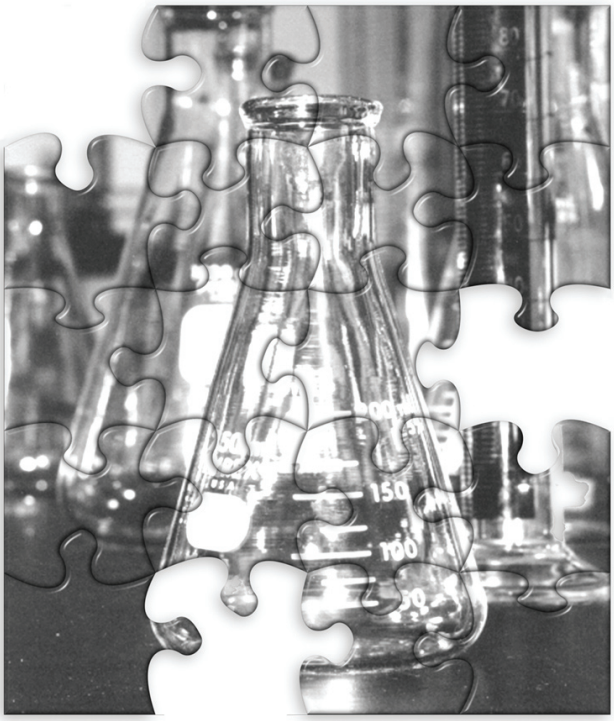
a. ICORD, University of British Columbia & Vancouver Coastal Health Research Inst., 2469-6270 University Blvd. Vancouver, BC, V6T1Z4, Canada
b. Cambridge University Centre for Brain Repair, Robinson Way, Cambridge CB2 2PY, UK
c. Center for Neural Repair, University of California at San Diego, La Jolla, CA 92093, USA
d. Craig Hospital, 3425 South Clarkson Street, Englewood, CO 80113-2811, USA
e. Jefferson Medical College, Thomas Jefferson University, 132 South 10th Street, Philadelphia, PA 19107 USA
f. Department of Movement & Balance, Div. of Neuroscience & Mental Health, Imperial College London, Charing Cross Campus, St Dunstan's Road, London W6 8RP, UK
g. University of Toronto, Krembil Neuroscience Center, Head Spine and Spinal Cord Injury Program, Toronto Western Hospital, 399 Bathurst St. Toronto Ontario M5T 2S8, Canada
h. Department of Neurological Surgery and the Miami Project to Cure Paralysis, Lois Pope LIFE Center, 1095 NW 14th, Miami, FL, 33136, USA
i. National Institute of Neurological Disorders and Stroke, NIH, 6001 Executive Blvd, Bethesda MD 20892-9525, USA.
j. Queensland Brain Institute, Ritchie Bldg 64A, Univ of Queensland, St Lucia QLD 4072, Australia
k. Acorda Therapeutics, 15 Skyline Drive, Hawthorne, NY 10532, USA
l. Spinal Cord Injury Center, Balgrist University Hospital, Forchstrasse 340, CH-8008 Zurich, Switzerland
m. Department of Neurology, University of California Los Angeles, Geffen School of Medicine, Neurologic Rehabilitation and Research Program, 710 Westwood Plaza, Los Angeles, CA 90095-1769, USA
n. Baylor College of Medicine, Department of Neurosurgery, One Baylor Plaza , Houston TX 77030, USA
o. Midlands Centre for Spinal Injuries, Robert Jones & Agnes Hunt Orthopaedic and District Hospital NHS Trust, Oswestry, Shropshire SY10 7AG, UK
p. Keio University, School of Medicine, Dept Orthopaedic Surgery, 35 Shinanomachi Shinjuku-Ku, Tokyo 160-8582, Japan
q. WPCMath 703 West Ferry St., C-20, Buffalo, NY, 14222, USA
r. Institut des Neurosciences - CHU St Eloi, INSERM U-583, 80 rue Augustin Fliche, 4295 Montpellier cedex 05, France
s. Research Ethics Program and Dept. of Pathology, University of California - San Diego, La Jolla, California, USA
t. Institute for OneWorld Health, San Francisco, California, USA

Address for correspondence:

Dr. John Steeves, ICORD at UBC and VCH, 2469-6270 University Boulevard, Vancouver, BC, V6T 1Z4, Canada

© International Campaign for Cures of spinal cord Injury Paralysis (ICCP) Februar 2007

Experimentelle Therapien für Rückenmarksverletzungen: Was Sie wissen sollten, wenn Sie an einer klinischen Studie teilnehmen möchten.



Nach einer Rückenmarksverletzung hören Patienten häufig, dass es keine Behandlungsmethode derzeit gibt, um den Schaden am Rückenmark zu heilen. Dies ist nach wie vor richtig, und häufig zielt eine solche Aussage auch darauf ab, den betroffenen Personen klar zu machen, dass ihre ganze Konzentration der Rehabilitation gelten muss, anstatt auf eine wundersame Heilung zu warten. Obwohl eine umfassende Heilung in der Tat noch nicht möglich ist, sind der Rückenmarksforschung große Fortschritte gelungen, und es zeichnen sich neue Behandlungsmethoden zur Verbesserung von funktionellen Mechanismen bei Menschen mit Rückenmarksverletzungen ab (eine Liste mit potenziellen Therapieansätzen, die derzeit untersucht werden, finden Sie im Haupttext dieser Broschüre).

Damit diese neuen Behandlungsmethoden vom Labor in den klinischen Alltag gelangen, müssen sie sogenannte klinische Studien durchlaufen. Diese Broschüre bietet Ihnen Hilfestellung, wenn Sie die Teilnahme an einer solchen klinischen Studie in Erwägung ziehen.

Warum sind klinische Studien notwendig?

Es kann überraschend schwierig sein herauszufinden, ob eine Behandlungsmethode sicher und wirksam ist. Patienten glauben häufig, dass die Besserung ihres Zustands auf eine neue Behandlungsmethode zurückzuführen ist, doch oftmals ist die Ursache für die Verbesserung nicht in der neuen Therapie zu finden. Es gibt zwei wesentliche Probleme:

Die spontane Erholung. Unmittelbar nach einer Rückenmarksverletzung sind die Patienten häufig vollständig gelähmt. Ein Großteil der betroffenen Personen erholt sich in einem gewissen Maße während der Standard Behandlung im Krankenhaus (operative und medizinische Behandlung), und mit etwas Glück erleben einige wenige Patienten sogar eine dramatische, spontane Verbesserung bis eventuell hin zu einem fast normalen Zustand. Die Erholungschancen sind in den ersten drei Monaten am größten, jedoch kann die Erholungsphase ein Jahr oder auch länger dauern. Es lässt sich nur sehr schwer feststellen, ob die Zustandsverbesserung der Patienten auf diese spontane Erholung zurückzuführen oder das Ergebnis einer experimentellen Behandlung ist, insbesondere wenn die Behandlung sehr bald nach der Schädigung erfolgte. Der Placebo-Effekt. Menschen mit einer Rückenmarksverletzung klammern sich an jeden Strohhalm. Nach einer Behandlung neigen sie – getrieben von Glaube und Hoffnung – dazu, eine scheinbare Verbesserung ihres Zustandes anzuzeigen. In klinischen Studien berichten Patienten, die eine Schein- oder Placebo-Behandlung bekommen haben, häufig eine Verbesserung ihres Zustandes und diese Verbesserung kann fast so gross sein wie bei Patienten, die eine experimentelle (manchmal auch aktiv genannte) Therapie erhalten haben.

Ohne Durchführung einer ordnungsgemäßen klinischen Studie besteht die Gefahr, dass nicht wirksame oder gar schädliche Therapien in den normalen klinischen Versorgungsprozess aufgenommen werden.

Warum sollten Sie Ihre Entscheidung, an einer klinischen Studie teilzunehmen, kritisch bedenken?

Menschen mit einer Rückenmarksverletzung klammern sich verständlicherweise an jeden Strohhalm. Wissenschaftler arbeiten mit ihrer ganzen Kraft dran, neue Behandlungsmethoden zu entwickeln und es ist ihr größtes Ziel, dass die von ihnen entwickelten Therapien den von einer Rückenmarksverletzung betroffenen Menschen so schnell wie möglich zuteil werden. Die Versuchung, den kürzesten Weg zu gehen, ist für beide Gruppen sehr groß. Die absolute Mehrheit der klinischen Studien ist gut geplant und wird sorgfältig durchgeführt. Es gibt jedoch auch Studien, die man besser meiden sollte. Diese Broschüre und das umfassendere ICCP-Begleitdokument sollen Ihnen dabei helfen herauszufinden, ob eine klinische Studie vertrauenswürdig ist.

Eine vertrauenswürdige klinische Studie prüft eine Behandlungsmethode erst nach Abschluss einer tierexperimentellen Phase, bei der eine überzeugende und wiederholbare Wirkung erzielt wurde. Auf Basis einer sorgfältigen Studienplanung erhält eine Patientengruppe zum Vergleich zusätzlich die experimentelle Behandlung während eine zweite Gruppe keine bzw. nur eine Scheinbehandlung (Placebo-Behandlung) bekommt.

Experimentelle Therapien, die angeboten werden, ohne eine Studie komplett durchlaufen zu haben. Es kann vorkommen, dass Patienten potenzielle Behandlungsmethoden angeboten werden von Ärzten, die fest an den Erfolg der jeweiligen Therapie glauben. Ohne eine klinische Studie, in der die Wirksamkeit einer Behandlungsmethode mit einer Kontrollgruppe verglichen wird, die eine Schein(Placebo) behandlung erhält, ist es jedoch nahezu unmöglich festzustellen, ob eine Therapie wirklich wirksam ist.

Therapien, die aus Gründen der materiellen Bereicherung angeboten werden. Da wo Patienten verzweifelt auf eine Heilung warten und zu allem bereit sind sich auch teuren, von Krankenkassen nicht versicherten Behandlungen zu unterziehen, werden von dubiösen Organisationen all zu oft nicht zugelassene Therapien angeboten. Sie sollten für eine explizit im Rahmen einer klinischen Studie durchgeführten Behandlung nichts bezahlen müssen. Ihre Krankenversicherung sollte die Leistungen für die medizinische Standardbehandlung tragen.

Die Entwicklung von neuen Therapieformen für Patienten mit einer Rückenmarksverletzung zählt zu den schwierigsten Vorhaben in der Medizin. Die Chancen, dass eine vorzeitig angebotene Therapie, die keine sorgfältig geplante klinische Studie komplett durchlaufen hat, Heilung bietet, sind sehr gering. Weitaus größer ist die Wahrscheinlichkeit, dass eine solche Therapie wirkungslos bleibt oder gar schädlich ist. Wir empfehlen daher dringend, dass Sie nur an ordnungsgemäß geplanten und durchgeführten klinischen Studien zu Behandlungsmethoden teilnehmen, deren Wirksamkeit in tierexperimentellen Untersuchungen überzeugend nachgewiesen wurde.

Wie ist der Ablauf einer klinischen Studie?

Damit sich eine Therapie für die Anwendung bei menschlichen Patienten qualifiziert, muss sie drei Stufen, sogenannte klinische Studienphasen, durchlaufen. [siehe Kapitel 4]

Phase 1: Hier wird die Verträglichkeit bzw. Sicherheit der Therapie festgestellt. Es wird nur eine relative kleine Zahl von Patienten behandelt, normalerweise zwischen 20 und 80 Personen, und üblicherweise auch zunächst nur mit einer niedrigen Dosierung, um festzustellen, ob es Nebenwirkungen gibt.

Phase 2: Hier sollten beim Vergleich von behandelten Patienten mit einer Kontrollgruppe positive Effekte der Therapie zu beobachten sein.

Wurde Phase 2 erfolgreich abgeschlossen, dann erfolgt die Genehmigung für *Phase 3*. In dieser Phase erhält eine große Zahl von Patienten, normalerweise in verschiedenen Kliniken, die experimentelle Therapie bzw. eine Kontrolltherapie. Wenn die Therapie – normalerweise in zwei separaten Phase-3-Studien – eine eindeutige Wirksamkeit ohne ernste Nebenwirkungen zeigt, erhält sie von der zuständigen Aufsichtsbehörde die klinische Zulassung.

Studiendesign: Der Kernpunkt der meisten klinischen Studien ist der Vergleich einer Patientengruppe, die die aktive (experimentelle) Therapie erhält, mit einer Kontrollgruppe, die entweder nicht behandelt wird oder eine inaktive Placebo-Behandlung bekommt. Lediglich bei einer Art von Studie ist dies nicht der Fall und zwar wenn Patienten, deren Zustand sehr stabil ist (d. h. 1 Jahr oder länger nach der Rückenmarksschädigung), als ihre eigene Kontrollgruppe fungieren. Es wird also

geprüft, ob sich ihr Zustand nach Anwendung der Behandlung im Vergleich zu ihren früheren Fähigkeiten verbessert. Beim Vergleich der Auswirkungen einer Therapie auf die Behandlungsgruppe mit dem Ergebnis der Kontrollgruppe sollte sichergestellt sein, dass die auswertenden Personen nicht wissen, ob es sich bei der angewandten Therapie um eine aktive Behandlung oder eine Scheinbehandlung gehandelt hat (auch „Verblindung“ genannt). In einigen Studien werden auch die Patienten verblindet was ihr Zugehörigkeit zu der einen oder anderen Gruppe anbelangt, wobei diese Art der Verblindung bei Rückenmarkstherapien, die einen chirurgischen Eingriff erfordern, oftmals nur schwer zu realisieren ist.

Welche Auswirkung hat die Teilnahme an einer klinischen Studie für Sie? Vor Aufnahme in eine klinische Studie muss jeder Teilnehmer eine Einwilligungserklärung unterzeichnen. Wenn die Behandlung sehr schnell nach der Schädigung des Rückenmarks erfolgen soll, kann es unter Umständen sein, dass der Patient bewusstseinsgetrübt oder bewusstlos ist, sodass die Familie des Patienten ihre Einwilligung an seiner statt geben muss. Nicht alle Patienten qualifizieren sich für eine klinische Studie, da ein Großteil der Studien nur bestimmte Patientengruppen mit einer bestimmten Art der Verletzung aufnimmt. Die Teilnahme an einer Studie unterliegt zudem immer bestimmten Kriterien, denn wenn die Patienten zu unterschiedlich sind, ist es nahezu unmöglich herauszufinden, ob eine Therapie wirksam ist. Nach Aufnahme in eine klinische Studie werden die Patienten im Zufallsprinzip entweder der Behandlungs- oder der Kontrollgruppe zugeteilt. Nach oder während der Therapie wird es häufige Nachuntersuchungen geben, für die eine Anwesenheit in der Klinik erforderlich ist. Diese Untersuchungen können eine vollständige körperliche Untersuchung, Bluttests und Test zur Ausübung von Aktivitäten des täglichen Lebens umfassen, wodurch eine Beurteilung der Funktionsfähigkeit des Rückenmarks möglich ist. Diese Besuche in der Klinik sollten für Sie kostenfrei sein.

Was passiert, wenn Sie der Kontrollgruppe zugeteilt werden?

Die meisten Patienten würden es selbstverständlich bevorzugen, die aktive Behandlung zu erhalten. Wie bereits oben erwähnt, ist es jedoch unmöglich festzustellen, ob eine Behandlung wirklich greift, ohne dass Vergleiche mit Patienten einer Kontrollgruppe (Vergleich Standardbehandlung zur experimentellen Behandlung) angestellt werden. Sollte die Therapie durch einen unglücklichen Umstand unerwünschte Nebenwirkungen haben, kann es auch ein Vorteil sein, der Kontrollgruppe anzugehören. Alle Patienten, die an einer klinischen Studie teilnehmen, sollten von der Teilnahme profitieren, indem sie in jedem Fall die bestmögliche Standardversorgung erhalten. Die zuständigen Ärzte sollten Ihnen erklaeren koennen, was fuer Möglichkeiten fuer die Teilnehmern der Kontrollgruppe nach Abschluss der Studie bestehen.. Die schnelle Aufnahme in eine zweite Studie kann manchmal eine Möglichkeit sein oder der Teilnehmer erhält eine bestimmte zugelassene Behandlung. Sollte diesbezüglich Unklarheit bestehen, dann sollten Sie nachfragen.

Was sollten Sie nach Abschluss der klinischen Studie erwarten? Es ist sehr unwahrscheinlich, dass Sie am Ende einer klinischen Studie vollständig geheilt sind. Könnten Sie dann an einer weiteren Studie teilnehmen? Bei einigen klinischen Studien kann es sein, dass nach den Einschlusskriterien Patienten ausgeschlossen sind, die bereits mit bestimmten experimentellen Therapien behandelt worden sind. Weitere Informationen zu diesem Thema finden Sie im Haupttext dieser Broschüre. Ebenso können Sie Ihre diesbezüglichen Fragen mit den Personen besprechen, die für die Durchführung der klinischen Studie verantwortlich sind.

Es wird Ihnen angeboten an einer klinischen Studie teilzunehmen. Woran können Sie Ihre Entscheidung ausrichten?

Vor Teilnahme an einer Studie müssen Sie oder Ihre Familie eine Einwilligungserklärung abgeben. [siehe Kapitel 5]. Im Folgenden sind einige Punkte aufgelistet, von denen Sie sich vorab überzeugen sollten.

Experimentelle Nachweise, dass die Behandlung wirksam ist. Jede Behandlung, die klinisch geprüft wird, sollte zuvor an Tieren mit Rückenmarksverletzungen getestet worden sein und dabei eine deutliche Zustandsverbesserung ohne toxische Nebenwirkungen erzielt haben. Dabei ist wichtig, dass diese positiven Ergebnisse veröffentlicht und von anderen Wissenschaftlern bewertet wurden. Zudem sollten sie von unabhängigen Labors erfolgreich wiederholt worden sein und den Verletzungsarten beim Menschen entsprechen. Auf Nachfrage sollten Sie einen detaillierten Bericht diesbezüglich bekommen. [siehe Kapitel 4]

Nachweise, dass die Behandlung sicher und verträglich ist. Vor Anwendung bei menschlichen Patienten sollte jede Behandlung eine Reihe von Verträglichkeitstests durchlaufen haben. Dies kann bereits in Phase 1 oder 2 getestet worden sein.

Studiendesign. Sie sollten genau wissen, ob Sie an einer

Studie in Phase 1, 2 oder 3 teilnehmen. Die Studie sollte zudem bei der zuständigen Aufsichtsbehörde registriert sein. In einer sorgfältig durchgeführten Phase-2- oder Phase-3-Studie gibt es eine Behandlungs- (Standard plus experimentelle Behandlung) und eine Kontrollgruppe (Standard plus Placebo Behandlung) und die Patienten werden im Zufallsprinzip der einen oder der anderen Gruppe zugeteilt. Es sollte sichergestellt sein, dass die auswertenden Personen „blind“ sind was Ihre Zugehörigkeit zur Behandlungs- oder Kontrollgruppe anbelangt. Nach der Behandlung ist für einen Zeitraum von oftmals bis zu einem Jahr nach der Therapie eine Reihe von Nachuntersuchungen in der zuständigen Klinik nötig. Diese Nachuntersuchungen sollten für Sie kostenfrei sein. Am Ende der Studie sollte es eine klare Regelung geben, was Patienten aus der Behandlungs- und auch der Kontrollgruppe an Möglichkeiten angeboten wird.

Wo können Sie sich informieren?

Sie haben eine Reihe von Möglichkeiten:

- Es gibt gute Internetseiten von verschiedenen Organisationen, die sich mit Rückenmarksverletzungen beschäftigen und Mitglied der ICCP sind (siehe Seite 39). Sie können diese Stiftungen direkt kontaktieren und sich dort informieren. Oftmals werden Sie es dabei mit Menschen zu tun haben, die selbst eine Rückenmarksverletzung erlitten haben. Auch einige staatliche Forschungseinrichtungen stellen auf ihren Internetseiten nützliche Informationen zur Verfügung (z. B. die National Institutes for Health in den USA).
- Rückenmarkforscher stehen im Allgemeinen gern mit ihrem professionellen Rat zur Seite, wenn man sie darum bittet. Am besten nehmen Sie per E-Mail Kontakt auf. Die Namen von entsprechenden Forschern erhalten Sie von den Stiftungen.
- Die meisten Patienten haben einen Hausarzt, der entweder selbst beratend tätig werden kann oder aber weiß, an wen man sich wenden sollte.
- Lesen Sie weiter: Im Haupttext der Broschüre finden Sie viele detaillierte Informationen zu den Themen, die in dieser Kurzdarstellung angeschnitten wurden. Wir beginnen mit einem Überblick über die ASIA-Skala und die spontane Erholung und analysieren im Weiteren die Risiken einer nicht zugelassenen Therapie. Wir untersuchen detailliert den Aufbau einer klinischen Studie, von Phase 1 bis Phase 4, sowie alles Wesentliche zu den Themen Studiendesign und präklinische Studien. Ethische Grundsätze bei der Durchführung klinischer Studien, Befangenheit, Kontrollen bzw. Kontrollgruppen und die Bedeutung der Einwilligungserklärung werden ebenfalls besprochen. Wir diskutieren einige der Skalen, mithilfe deren der funktionelle Nutzen einer Therapie gemessen werden kann und zeigen einige der möglichen Bedenken im Hinblick auf die erneute Teilnahme an einer klinischen Studie auf. Darüber hinaus stellen wir Ihnen einige experimentelle Therapieansätze für Rückenmarksverletzungen vor, die derzeit erforscht werden. Und schließlich finden Sie in dieser Broschüre einen Katalog von Fragen, die Sie im Falle einer Einladung zur Teilnahme an einer klinischen Studie dem zuständigen Arzt stellen sollten. Diese Checkliste soll Ihnen helfen, die richtige Entscheidung zu treffen.

Internetseiten der ICCP Mitgliedsorganisationen:

Christopher Reeve Foundation: www.christopherreeve.org
Institut pour la Recherche sur la Moëlle épinière et l’Encéphale: www.irme.org
International Spinal Research Trust: www.spinal-research.org
Fondation internationale pour la recherche en paraplégie: www.irp.ch
Japan Spinal Cord Foundation: www.jscf.org
Miami Project to Cure Paralysis: www.themiamiproject.org
Neil Sachse Foundation: www.nsf.org.au
Paralyzed Veterans of America: www.pva.org
Rick Hansen Foundation: www.rickhansen.com
Spinal Cure Australia: www.spinalcure.org.au
Wings for Life: www.wingsforlife.com

Teilnahme an einer klinischen Studie entschließen? *(Ihre Teilnahme-Checkliste)*

Folgende Fragen sollten Sie im Falle einer Einladung zur Teilnahme an einer klinischen Studie am Menschen dem zuständigen Arzt stellen. Mit dieser Checkliste möchten wir Ihnen helfen, die richtige Entscheidung zu treffen.

1. Sicherheit	**Yes**	**No**	**Additional in-depth information**
a. Birgt die Teilnahme an dieser experimentelle Therapie Risiken hinsichtlich der Sicherheit/Verträglichkeit?			
b. Könnte sich mein Zustand oder meine Gesundheit nach der experimentellen Therapie verschlechtern?			
c. Falls ja, können Sie die möglichen Risiken dieser experimentellen Therapie beschreiben?			
2. Mögliche Vorteile			
a. Können Sie die möglichen Vorteile dieser experimentellen Therapie für mich beschreiben?			
b. Können Sie den maximal möglichen Erholungsgrad nach der experimentellen Therapie beschreiben?			
c. Können Sie beschreiben, wie ein möglicher Nutzen der Therapie gemessen wird?			
d. Ist diese Ergebnismessung ein präzises und messempfindliches Instrument zur Bewertung der Therapie?			
3. Präklinische Untersuchungen			
a. Können Sie die präklinischen Untersuchungen beschreiben, die belegen, dass diese experimentelle Therapie nutzbringend ist (d. h. bei Tieren mit Rückenmarksverletzungen)?			
b. Wurden diese Erkenntnisse von einer unabhängigen Instanz mit einem Wiederholungsexperiment bestätigt?			
c. Falls ja, sind sich die Wissenschaftler einig, dass diese Therapie der Erreichung eines anerkannten therapeutischen Ziels für die Verbesserung meiner funktionellen Fähigkeiten dient?			
d. Gibt es diesbezüglich abweichende Meinungen und rechtfertigen diese Argumente ggf. eine Nichtweiterführung der Therapie?			

4. Studienprotokoll	**Yes**	**No**	**Additional in-depth information**
a. Ist diese Studie am Menschen als offizielle klinische Prüfung bei der entsprechenden Aufsichtsbehörde angemeldet?			
b. Können Sie beschreiben, in welche klinische Studienphase diese spezielle Studie am Menschen fällt?			
c. Wird diese Studie mit einer Kontrollgruppe durchgeführt?			
d. Könnte ich ggf. im Zufallsprinzip dieser Kontrollgruppe zugeordnet werden?			
e. Können Sie mir sagen, über welchen Zeitraum hinweg ich auf eine Ergebnisveränderung hin untersucht werde?			
f. Werde ich verblindet hinsichtlich der Behandlung, die ich erhalte (experimentelle Behandlung oder Kontrollbehandlung)?			
g. Werden die prüfenden Ärzte verblindet hinsichtlich der Behandlung, die ich erhalten habe?			
5. Teilnahme an anderen Studien			
a. Wird durch die Teilnahme an dieser klinischen Studie meine Teilnahme an anderen klinischen Studien zu Rückenmarksverletzungen ggf. eingeschränkt?			
b. Sollte ich der Kontrollgruppe zugeordnet werden und sollte die experimentelle Therapie im Rahmen der klinischen Studie als wirksam für meine Art der Rückenmarksverletzung bestätigt werden, habe ich dann später Anspruch auf diese Behandlung?			
6. Bezahlung und Kosten			
a. Muss ich für die Therapie bezahlen?			
b. Fallen im Rahmen meiner Teilnahme an dieser Studie irgendwelche anderen Kosten an?			
c. Werde ich für die Auslagen, die ich aufgrund der Teilnahme an dieser Studie habe, entschädigt (z. B. Reisekosten zum Prüfzentrum für Nachfolgeuntersuchungen)?			
7. Unabhängige Beurteilung der Therapie und der Prüfer			
a. Können Sie mir die Namen von mehreren (nicht an dieser Studie beteiligten) Wissenschaftlern und Ärzten geben, die mir unabhängig Informationen zu dieser Therapie und zu Ihrem Ruf geben bzw. mich beraten können?			

Welche Antworten sollten Sie erhalten?

Wie sollten die Antworten unserer Meinung nach auf diese Fragen ausfallen? Im Folgenden finden Sie die Empfehlungen der Autoren, doch ungeachtet dessen unterliegt die Entscheidung Ihrem ganz persönlichen Ermessen. Jeder Patient mit einer Rückenmarksverletzung muss selbst die möglichen Vorteile gegen die möglichen Risiken abwägen und sich auf Basis dessen für eine Vorgehensweise entscheiden.

1. Sicherheit

a. *Birgt die Teilnahme an dieser experimentelle Therapie Risiken hinsichtlich der Sicherheit/Verträglichkeit?*
Antwort: sollte JA sein; niemand kann die absolute Sicherheit einer Therapie garantieren, jedoch sollten aus den präklinischen Untersuchungen oder vorausgehenden klinischen Studienphasen Informationen zu den möglichen Risiken vorliegen.

b. *Könnte sich mein Zustand oder meine Gesundheit nach der experimentellen Therapie verschlechtern?*
Antwort: sollte JA sein; wenn Ihnen gesagt wird, dass es keine oder kaum Risiken gibt, dann sollten Sie misstrauisch werden.

c. Falls ja, können Sie die möglichen Risiken dieser experimentellen Therapie beschreiben?
Antwort: Der Prüfer sollte in der Lage sein, Ihnen die möglichen Risiken dieser Studie am Menschen detailliert zu beschreiben und zu erklären.

2. Mögliche Vorteile

a. *Können Sie die möglichen Vorteile dieser experimentellen Therapie für mich beschreiben?*
Antwort: Der Prüfer sollte eine Reihe möglicher Vorteile, von sehr kleinen bis mäßigen funktionellen Verbesserungen, beschreiben.

b. *Können Sie den maximal möglichen Erholungsgrad nach der experimentellen Therapie beschreiben?*
Antwort: Wird behauptet, dass Sie eine dramatische Verbesserung erzielen und nahezu die volle Funktionsfähigkeit wiedererlangen werden, dann sollten Sie diese Studie meiden, denn es gibt für keine Therapie Hinweise auf ein derart umwerfendes Ergebnis, nicht einmal im Tierversuch.

c. *Können Sie beschreiben, wie ein möglicher Nutzen der Therapie gemessen wird?*
Antwort: Der Prüfer sollte in der Lage sein, eine Reihe unterschiedlicher Ergebnismessungen zu beschreiben, die eingesetzt werden, um Ihre Fortschritte nach der Behandlung zu bewerten.

d. *Ist diese Ergebnismessung ein präzises und messempfindliches Instrument zur Bewertung der Therapie?*
Antwort: Der Prüfer sollte in der Lage sein, die Stärken und Grenzen des Bewertungsverfahrens zu beschreiben. Bitte bedenken Sie, dass kein Verfahren perfekt ist.

3. Präklinische Untersuchungen

a. *Können Sie die präklinischen Untersuchungen beschreiben, die belegen, dass diese experimentelle Therapie nutzbringend ist (d. h. bei Tieren mit Rückenmarksverletzungen)?*
Antwort: Der Prüfer sollte in der Lage sein, die Ergebnisse der präklinischen Untersuchungen zusammengefasst zu erläutern, einschließlich der Stärken und Grenzen des Therapieansatzes.

b. *Wurden diese Erkenntnisse von einer unabhängigen Instanz mit einem Wiederholungsexperiment bestätigt?*
Antwort: Diese Frage kann bejaht oder verneint werden, jedoch sollte nachgewiesen sein, dass andere Wissenschaftler bei der Untersuchung dieses Therapieziels oder -ansatzes ähnliche Ergebnisse erzielt haben.

c. *Falls ja, sind sich die Wissenschaftler einig, dass diese Therapie der Erreichung eines anerkannten therapeutischen Ziels für die Verbesserung meiner funktionellen Fähigkeiten dient?*
Antwort: Diese Frage kann bejaht oder verneint werden, jedoch sollten veröffentlichte Diskussionen (z. B. ein wissenschaftlicher Review) nahe legen, dass die zur Frage stehende experimentelle Therapie ein anerkanntes Ziel für die Verbesserung der funktionellen Fähigkeiten nach einer Rückenmarksverletzung verändert oder herbeiführt.

d. *Gibt es diesbezüglich abweichende Meinungen und rechtfertigen diese Argumente ggf. eine Nichtweiterführung der Therapie?*
Antwort: Der Prüfer sollte in der Lage sein, Ihnen die Vor- und Nachteile einer Behandlung zusammengefasst darzulegen. Falls das nicht der Fall ist, sollten Sie bei jeder Behandlung, die angeblich keine Einschränkungen hat, misstrauisch werden. Wissenschaftler sind im Normalfall untereinander sehr kritisch. Suchen Sie im Internet nach den jüngsten Veröffentlichungen zu der zur Diskussion stehenden Behandlung (z. B. unter www.pubmed.gov). Sollten Sie bei Ihrer Recherche über biologische oder medizinische Fachbegriffe stolpern, die Sie nicht verstehen, bitten Sie Ihre medizinischen Leistungserbringer um Hilfe.

4. Studienprotokoll

a. *Ist diese Studie am Menschen als offizielle klinische Prüfung bei der entsprechenden Aufsichtsbehörde angemeldet?*
Antwort: sollte JA sein und der Prüfer sollte in der Lage sein, Ihnen hierzu sofort weitere Details zu nennen. Falls die Antwort zu diesem Punkt sehr vage ausfällt, dann sollten Sie misstrauisch werden.

b. *Können Sie beschreiben, in welche klinische Studienphase diese spezielle Studie am Menschen fällt (Phase 1, 2 oder 3)?*
Antwort: sollte sofort kommen und so detailliert wie Sie es wünschen ausfallen.

c. *Wird diese Studie mit einer Kontrollgruppe durchgeführt?*
Antwort: sollte JA sein. Falls nicht, dann sollte es eine Open-Label-Studie der Phase 1 sein (nur Prüfung

der Sicherheit/Verträglichkeit). Ist das nicht der Fall, dann handelt es sich bei dieser Studie am Menschen höchstwahrscheinlich nicht um eine klinische Prüfung. Vorsicht ist also geboten.

d. *Könnte ich ggf. im Zufallsprinzip dieser Kontrollgruppe zugeordnet werden?*
Antwort: sollte JA sein bei Phase-3-Studien. Falls nein, dann handelt es sich höchstwahrscheinlich nicht um eine genehmigte klinische Prüfung.

e. *Können Sie mir sagen, über welchen Zeitraum hinweg ich auf eine Ergebnisveränderung hin untersucht werde?*
Antwort: sollte sich im Zeitrahmen von mindestens 6 Monten bis einem Jahr nach der Behandlung bewegen. Es besteht die Möglichkeit, dass Sie zu Beginn einige Wochen zur Verfügung stehen müssen und dass das ggf. einen stationären Aufenthalt beinhaltet. Anschließend werden Sie eventuell gebeten, für weitere Untersuchungen zu bestimmten Zeitpunkten innerhalb der folgenden Monate nochmal zu erscheinen. Wenn Sie sich einmal für die Teilnahme entschieden haben, dann sollten Sie bereit sein, das komplette Studienprogramm zu absolvieren, auch wenn Sie das Gefühl haben, dass die Therapie Ihnen keinen Nutzen bringt. Teilnehmer, die aus einer Studie ausscheiden, behindern einen zeitnahen Abschluss der Studie.

f. *Werde ich verblindet hinsichtlich der Behandlung, die ich erhalte (experimentelle Behandlung oder Kontrollbehandlung)?*
Antwort: Falls physisch möglich, dann sollte die Antwort JA sein. Falls nicht, dann sollte es sich um eine Phase-1-Studie handeln. Falls es keine Phase-1-Studie ist, dann sollten Sie misstrauisch sein, ob es sich hier wirklich um eine genehmigte klinische Prüfung handelt. Manchmal kann es unumgänglich sein, dass Sie wissen, welcher Gruppe Sie zugeordnet sind. In diesem Fall sollten Sie darauf hingewiesen werden, dass Sie den untersuchenden Personen keinesfalls sagen, ob Sie der Behandlungs- oder der Kontrollgruppe zugeteilt sind, bis sämtliche Prüfdaten analysiert sind.

g. *Werden die prüfenden Ärzte verblindet hinsichtlich der Behandlung, die ich erhalten habe?*
Antwort: sollte ganz klar JA sein, außer es handelt sich um eine Phase-1-Studie. Falls nicht, dann handelt es sich nicht um eine genehmigte klinische Prüfung. Vorsicht ist also geboten.

5. Teilnahme an anderen Studien

a. *Wird durch die Teilnahme an dieser klinischen Studie meine Teilnahme an anderen klinischen Studien zu Rückenmarksverletzungen ggf. eingeschränkt?*
Antwort: sollte JA sein, das ist möglich. Der Prüfer sollte in der Lage sein zu umreißen, von welcher Art von Studien Sie künftig ggf. ausgeschlossen werden.

b. *Sollte ich der Kontrollgruppe zugeordnet werden und sollte die experimentelle Therapie im Rahmen der klinischen Studie als wirksam für meine Art der Rückenmarksverletzung bestätigt werden, habe ich dann später Anspruch auf diese Behandlung?*
Antwort: sollte JA sein, außer der Zustand Ihrer Rückenmarksverletzung hat sich geändert oder die Behandlung konnte nur innerhalb eines bestimmten Zeitraums nach der Rückenmarksverletzung durchgeführt werden und dieser Zeitraum ist bereits überschritten. Im Allgemeinen gilt: Wenn eine experimentelle Therapie von der zuständigen Aufsichtsbehörde für den klinischen Einsatz zugelassen wurde, dann haben Sie Anspruch auf diese Behandlung.

6. Bezahlung und Kosten

a. *Muss ich für die Therapie bezahlen?*
Antwort: sollte NEIN sein. Falls die Antwort JA lautet, dann handelt es sich nicht um eine genehmigte klinische Prüfung. Vorsicht ist also geboten.

b. *Fallen im Rahmen meiner Teilnahme an dieser Studie irgendwelche anderen Kosten an?*
Antwort: Sie sollten nichts bezahlen müssen für eine explizit im Rahmen einer klinischen Studie durchgeführten Behandlung, jedoch müssen Sie oder Ihre Krankenversicherung gegebenenfalls die Kosten für die derzeit verfügbare medizinische Standardbehandlung tragen.

c. *Werde ich für die Auslagen, die ich aufgrund der Teilnahme an dieser Studie habe, entschädigt (z. B. Reisekosten zum Prüfzentrum für Nachfolgeuntersuchungen)?*
Antwort: sollte JA sein.

7. Unabhängige Beurteilung der Therapie und der Prüfer

a. *Können Sie mir die Namen von mehreren (nicht an dieser Studie beteiligten) Wissenschaftlern und Ärzten geben, die mir unabhängig Informationen zu dieser Therapie und zu Ihrem Ruf geben bzw. mich beraten können?*
Antwort: sollte JA sein. Zudem sollte es möglich sein, die Glaubwürdigkeit der Studie und die Referenzen der Prüfer leicht und jederzeit über das Internet nachzuprüfen.

Danksagung:

Die Autoren bedanken sich bei den Vertretern der ICCP Mitgliedsorganisationen für ihre hilfreichen Kommentare zu den Textentwürfen für diese Broschüre.

icord

Die Texte wurden für die Veröffentlichung vorbereitet und koordiniert von ICORD (International Collaboration On Repair Discoveries) in Vancouver, Kanada. www.icord.org
Gestaltung + Satz: Cheryl Niamath