

Impulse, die beim Patienten ankommen



Chalmers & Glasziou (Lancet, 2009, 374) schätzen, dass 85 Prozent der Investitionen in die klinische Forschung Patienten nichts bringen, da sie nicht zu neuen oder wirksameren Therapien führen. Sie machen dafür die Auswahl von nicht relevanten Fragestellungen, methodischen Schwächen der durchgeführten Studien und fehlende oder mangelhafte Publikationen der Resultate verantwortlich. Stiftungen können die Effektivität der klinischen Forschung verbessern, indem sie an den richtigen Stellen fördern. Worauf aber müssen sie achten, damit ihre Unterstützung bei Patienten ankommt? Bevor Stiftungen sich dafür entscheiden, eine klinische Studie zu fördern, sollten sie verschiedene Fragen für sich beantwortet haben.



Ist die Begründung für die klinischen Studie plausibel und zuverlässig?

Die präklinischen Daten, die als Basis für eine Anwendung bei Menschen herangezogen werden, sollten auf einer plausiblen Theorie der Erkrankung basieren sowie zuverlässig und von einem unabhängigen Institut reproduziert worden sein. Wer auf falsche oder nicht-reproduzierbare Grundlagen setzt oder Daten überinterpretiert, scheitert bei der Anwendung auf den Menschen.

Hat die Studie eine hohe Priorität für Patienten?

Klinische Studien werden durchgeführt, um einen potentiellen Nutzen für Patienten zu erlangen. Die Auffassung von Ärzten und Patienten darüber, was in einer bestimmten medizinischer Situation als Fortschritt zu verstehen ist, differiert jedoch teilweise stark. An der Studie sollten daher auch Patienten mitarbeiten und -entscheiden. Außerdem muss der erwartete Nutzen die Durchführung der klinischen Studie rechtfertigen und in einem vertretbaren Verhältnis zu den erwarteten Kosten der Therapie stehen.

Bringt die Studie neues Wissen hervor?

Die primäre Fragestellung einer Studie sollte auf der verfügbaren Literatur aufbauen und eine umfassende Literaturübersicht beinhalten. Nur so kann beurteilt werden, ob ein Projekt wirklich relevant ist. Es gibt zu viel sogenannte Me-too-Forschung, weil gleiche oder ähnliche Studien durchgeführt wurden.

Ist die Beantwortung der Fragestellung zum Zeitpunkt der erwarteten Publikation zeitgemäss?

Die Durchführung einer klinischen Studie von der Planung bis zur Publikation dauert in der Regel mehrere Jahre. Deshalb müssen die momentan laufenden und geplanten Studien bei der Beurteilung eines Projektantrags einbezogen werden. Diese laufenden Studien werden heute registriert und sind in öffentlich zugänglichen Datenbanken auffindbar (zum Beispiel auf clinicaltrials.gov oder www.cochranelibrary.com). Viele Fragestellungen erscheinen in der Planung attraktiv, sind aber bei der Publikation nicht mehr interessant.

Kann die Fragestellung mit der vorliegenden Studie zuverlässig beantwortet werden?

Klinische Studien müssen nach einer strengen wissenschaftlichen Methodik durchgeführt werden. Eine plausible und klare Hypothese ist das Kernstück einer methodisch einwandfreien Studie. Nur wenn Studien mit dem Einschluss von genügend Patienten durchgeführt werden, können sie eindeutige und zuverlässige Aussagen produzieren. Patienten werden auch heute zu oft auf der Basis von unzuverlässigen Studienresultaten behandelt.

Sind eine hohe Priorität, Relevanz und Qualität gewährleistet?

Die Priorität, die wissenschaftliche Relevanz und die methodische Qualität müssen unabhängig voneinander eingeschätzt werden. Nur wenn alle Bewertungen hoch ausfallen, sollte eine Studie unterstützt werden.

Kann die Studie in der angekündigten Zeit durchgeführt werden?

Es müssen genügend Patienten in die Untersuchung aufgenommen werden. Außerdem muss ein zuverlässiges Projektmanagement die Studie begleiten und es sollte der Wille bestehen, die Resultate unmittelbar nach Abschluss der Studie zu publizieren. Werden die Resultate verspätet erreicht oder veröffentlicht, verlieren sie an Bedeutung für Patienten.

Sind die Experten unabhängig?

Eine Stiftung sollte über interne oder externe Expertise zur Beurteilung einer klinischen Studie verfügen, wenn sie über eine potentielle Förderung entscheidet. Das Expertengremium sollte multiprofessionell zusammengestellt sein und sowohl das medizinische Gebiet, die Statistik als auch die Studienmethodologie umfassen. Stiftungen und Experten müssen gegenüber ihren Destinatären die Unabhängigkeit bewahren.

Sind Interessenskonflikte ausgeschlossen?

Nichts kompromittiert die Qualität so sehr wie Interessenkonflikte. Deshalb sollten die Förderorgane mit klaren Prioritäten gemäss dem Stiftungszweck arbeiten, die Auswahlverfahren mit objektiven Kriterien nach Corporate Governance Grundsätzen durchgeführt werden und wirksame Massnahmen gegen Interessenskonflikte im Entscheidungsorgan implementiert sein.

Steht die Stiftung hinter der Langzeitinvestition?

In der klinischen Forschung sollten nicht einzelne Studien, sondern die Entwicklung einer Therapie bis zur Routineanwendung beim Patienten unterstützt werden. Mit einer realistischen Planung kann aufgezeigt werden, wann der potentielle Nutzen beim Patienten ankommt.

Die medizinische Forschung kann in drei Sektoren eingeteilt werden:

Grundlagenforschung erzeugt Wissen zu den biologischen/genetischen Mechanismen von Krankheitsprozessen.

Translationelle Forschung ist der Übergang von der Laborforschung mit Tieren/Zellkulturen (präklinische Forschung) zum Menschen mit dem Ziel der therapeutischen Anwendung.

Klinische Forschung ist die Anwendung beim Menschen mit dem Ziel, Nutzen für Patienten zu generieren.