HDBuzz Grundlagen: Design und Phasen klinischer Studien

HDBuzz entwirrt Hoffnung von Hype in Bezug auf Publikationen zu klinischen Studien

Von Dr Jeff Carroll und Melissa Christianson **23. Oktober 2015**

Bearbeitet von Dr Jeff Carroll **Übersetzt von Annika Zeller**
Ursprünglich veröffentlicht am 9. Oktober 2015

In den letzten Jahren wurden viele Publikationen über die Ergebnisse klinischer Studien zu HK-Medikamenten veröffentlicht, es kann allerdings wirklich schwer sein zu verstehen, was diese Ergebnisse tatsächlich bedeuten. Was eine simple Frage zu sein scheint - wirkt das Medikament oder nicht - entpuppt sich als komplizierter als gedacht. HDBuzz ist dazu da, HK-Familien dabei zu unterstützen, die Hoffnung von einem Hype in Bezug auf die Ergebnisse der klinischen Studien zu unterscheiden.

Der Weg zum Erfolg: Wie neue Medikamente zugelassen werden

Das Leben eines Medikaments beginnt lange bevor es überhaupt in den Regalen der Apotheken oder Arztpraxen erscheint - im Durchschnitt beginnt es ungefähr 12 *Jahre* vor der Zulassung. Aber was genau passiert in der Zeit, bevor ein neues Medikament auf den Markt kommt? Da neue Arzneimittel ungeprüfte Chemikalien sind, die möglicherweise gefährlich für Menschen sein könnten, wird ein großer Teil der Zeit mit testen verbracht. Bevor sie in der Klinik zum Einsatz kommen, müssen neue Medikamente zuerst von der Regierungsbehörde als sicher und wirksam anerkannt werden. Dieser Zulassungsprozess bedeutet einen riesigen Arbeitsaufwand - und so auch einen riesigen Zeitaufwand.

Der Weg zur Medikamentenzulassung erfordert ein exaktes Testen, um die Sicherheit und Wirksamkeit eines potentiellen Medikaments für Menschen zu beweisen

Quelle: freeimages

Weltweit hat jedes Land seinen eigenen, durch Gesetzte spezifizierten Weg, um ein Medikament zuzulassen. Dieser Artikel fokussiert sich ausschließlich auf das Zulassungsverfahren der USA, allerdings gibt es überall auf der Welt ähnliche Vorgehensweisen.

Für die Zulassung neuer Arzneimittel ist in den USA die Food and Drug Administration (FDA) zuständig. Eine Firma mit einem potentiellen neuen Medikament, beispielsweise eines, das bei der Huntington-Krankheit hilft, beginnt den Zulassungsprozess damit, der FDA aus drei Bereichen Informationen über ihr potentielles Medikament zu übermitteln: (I) Tierversuche, um zu beweisen, dass es ungiftig ist, (II) Herstellungsinformationen, hier wird die ordnungsgemäße Herstellung beschrieben und (III) Pläne für klinische Studien, damit es am Menschen getestet werden kann.

Nach dem Erhalt dieser Informationen kann die FDA grünes Licht für den Beginn der Tests des potentiellen Medikaments an Menschen geben. Erstaunlicherweise verlangt die FDA in diesem frühen Stadium **keinen** Beweis von der Firma, dass ihr potentielles Arzneimittel von Vorteil ist - nur, dass es voraussichtlich sicher für Menschen ist.

Sobald die FDA dem Arzneimittelhersteller die Erlaubnis gewährt ihr potentielles Medikament an Menschen zu testen, beginnt die wirkliche Arbeit. Nun muss das pharmazeutische Unternehmen beweisen, dass ihr neues Arzneimittel sicher und wirksam gegen Krankheiten ankämpft, dies wird durch das Durchführen einer klinischen Studie gewährleistet (darauf liegt der Fokus im Rest des Artikels). Nur nach mehreren erfolgreich beendeten klinischen Studien, werden Medikamente für den Einsatz am Menschen zugelassen.

Klinische Studien 101: Design

Da klinische Studien den Grundstein des Zulassungsprozesses für Medikamente bilden, ist

es wichtig zu wissen, wie diese durchgeführt werden. In diesem Abschnitt werden wir über die wesentlichen Grundlagen sprechen, die für alle klinischen Studien zutreffen- einschließlich denen für HK Medikamente.

Was sind klinische Studien?

Im Wesentlichen sind klinische Studien **sehr sorgfältig geplante** Experimente, die darauf ausgelegt wurden, spezifische Fragen zu beantworten, wie das Medikament Menschen beeinflusst. Typischerweise befassen sich klinische Studien mit einer oder beiden der folgenden Fragen: *ist das Medikament sicher* und *wirkt das Medikament*.

Um die erste Frage zu beantworten - ist das Medikament sicher - müssen die Menschen, die das Medikament zu sich nehmen, auf unerwartete, unangenehme oder gefährliche Nebenwirkungen überwacht werden. Da die FDA keine gefährlichen Medikamente auf dem Markt möchte, setzten sie voraus, dass Arzneimittelhersteller sehr gewissenhaft auf diese Nebenwirkungen achten. Da wir aber nicht in die Zukunft schauen können, ist nicht vorauszusehen, welche Arten an Nebenwirkungen durch ein Medikament hervorgerufen werden können. Deswegen durchlaufen die Probanden klinischer Studien viele Tests und Befragungen, um ein breites Spektrum potentieller medikamentenbedingter Nebenwirkungen zu entdecken.

Die zweite Frage, die durch eine klinische Studie beantwortet werden muss, ist, ob ein Medikament einen Aspekt der Krankheit verbessert. Diese Frage zu beantworten kann schwer sein, denn viele Erkrankungen - und insbesondere neurologische Erkrankungen - sind komplex. Ein Beispiel: Alle Huntington-Familien wissen, dass die HK jeden Aspekt des Lebens dieser Person beeinflussen kann: die Patienten haben psychologische Probleme, Denkstörungen, motorische Störungen und können eine geringere Lebenserwartung haben als Gesunde. Ein wirksames HK-Medikament könnte **jedes** dieser Aspekte verbessern, weshalb klinische Studien sehr sorgfältig von Arzneimittelhersteller gestaltet werden müssen, um medikamentenbedingte Verbesserungen der Krankheit zu entdecken.

Was macht eine klinische Studie erfolgreich?

> **„Aus der Perspektive der FDA ist der primäre Endpunkt das einzige Ergebnis der Studie, das etwas über ihren Erfolg oder Misserfolg aussagt. “**

Die FDA hat eine sehr klare Definition davon, was den Erfolg einer klinischen Studie darstellt. Diese Definition dreht sich um den sogenannten **primären Endpunkt**.

Der primäre Endpunkt ist die Hauptfrage, die in einer klinischen Studie gestellt wird - die Frage, auf die Arzneimittelhersteller eine Antwort finden möchten. In einer Studie für ein HK-Medikament beispielsweise, könnte ein primärer Endpunkt sein, dass das Medikament sicher ist, es abnorme Bewegungen reduziert, Symptome einer Denkstörung verbessert, oder sogar den Ausbruch der Krankheit verzögert. Man kann sich den primären Endpunkt einer Studie als ein spezifisches Endziel der Medikamentenbehandlung vorstellen - das was wir erhoffen das Medikament zu tun.

Noch *bevor* die Studie beginnt, müssen Arzneimittelhersteller gegenüber der FDA sowohl ihre primären Endpunkte festlegen, als auch die genaue Anzahl an Probanden, um diese Endpunkte zu testen. Diese Anforderung verhindert die Fehlinterpretation oder Überinterpretation der Ergebnisse klinischer Studien. Wenn ein Medikament sein vordefiniertes Ziel erreicht (und es auch so funktioniert, wie das pharmazeutische Unternehmen es sich vorstellt), sagt man die Studie hat ihren primären Endpunkt "erreicht".

Basierend auf dieser Idee definiert die FDA den Erfolg klinischer Studien in schwarz-weiß: eine Studie, die ihren primären Endpunkt erreicht ist ein Erfolg, ansonsten ist es ein Misserfolg. Aus der Perspektive der FDA ist für den Erfolg der Studie **der primäre Endpunkt das einzige Ergebnis der Studie, das zählt**.

Über den primären Endpunkt hinaus

Selbstverständlich möchte ein Arzneimittelhersteller, der eine klinische Studie durchführt, vermutlich mehr Fragen stellen, als lediglich die im primären Endpunkt spezifizierte. Diese anderen Fragen werden *sekundäre Endpunkte* genannt.

Sekundäre Endpunkte sollen den Firmen helfen, ihre behandelten Patienten so umfassend wie möglich zu überwachen, um die Auswirkungen eines Medikaments zu ermitteln. Wenn zum Beispiel bei einem HK-Medikament die Verbesserung der Bewegung als primärer Endpunkt erwartet wird, könnte ein sekundärer Endpunkt sein, ob das Arzneimittel den Patienten hilft, ihre Emotionen besser zu kontrollieren. Arzneimittelkonzerne können so viele sekundäre Endpunkte für klinische Studien festlegen, wie sie möchten - oftmals sind es einige, und manchmal können es auch Dutzende sein.

Anders als primäre Endpunkte, gelten sekundäre Endpunkte nicht als das A und O dafür, ob die FDA eine Studie als erfolgreich ansieht. **Auch wenn ein sekundärer Endpunkt erreicht wird, ist es nicht ausreichend die Studie als erfolgreich zu betrachten** - weil, wie bereits erwähnt, der Erfolg einer klinischen Studie vom *primären* Endpunkt der Studie abhängt.

Nichts desto trotz erhält man aus den sekundären Endpunkten sehr wichtige Informationen. Dadurch entdeckt man potentiell unerwartete Wege, wie ein Medikament eine Krankheit verbessert, und sie geben uns daher ein besseres Gefühl dafür, wie Medikamente im menschlichen Körper wirken. Somit sind sekundäre Endpunkte informativ, denn sie sagen uns, auf welche Arten von Wirkungen in weiteren Studien geachtet werden muss.

Mit multiplen Endpunkten umgehen

Wenn die primären Endpunkte das sind, worauf die FDA wirklich Wert legt, warum sollte dann nicht *jede* Frage - primäre Endpunkte, sekundäre Endpunkte, die ganze Palette - ein primärer Endpunkt sein, sodass sie für die FDA alle eine Rolle spielen? Würde das den Medikamenten nicht die beste Chance auf einen Erfolg geben?

Weitere Endpunkte zu einer klinischen Studie hinzuzufügen macht es der Studie sogar schwerer erfolgreich zu sein.

Quelle: freeimages.com

Naja, nicht wirklich. Um das Problem „alles in einen Topf zu werfen“ zu verstehen, hier eine Analogie.

Stellen sie sich vor ein Lehrer erklärt einer Klasse voller Schüler die Gesetze der Wahrscheinlichkeit, jeder davon hätte eine Münze. Wenn der Lehrer einen Schüler seine Münze 5-mal werfen lässt, wie hoch ist die Wahrscheinlichkeit jedes Mal Kopf (oder Zahl) zu bekommen? Durch simple Mathematik wissen wir, dass dies mit einer Wahrscheinlichkeit von 1 zu 32 passieren kann. Wenn also nur ein Schüler dieses “Experiment” durchführt, ist es ziemlich unwahrscheinlich, dass es genau 5-mal hintereinander Kopf wird.

Aber stellen sie sich vor der Lehrer lässt alle 32 Schüler der Klasse dieses Experiment zur gleichen Zeit durchführen. Und nun? Mit einer Wahrscheinlichkeit von 1 zu 32, stehen die Chancen gut, dass, wenn alle das Experiment gleichzeitig durchführen, einer davon genug Glück hat, 5 mal hintereinander Kopf zu werfen.

In genau der gleichen Art und Weise **wird mit jedem zusätzlichen Endpunkt in einer klinischen Studie im Endeffekt ein weiteres Kind zur Klasse hinzugefügt und wirft eine Münze**. Mehr Endpunkte geben dem experimentellen Medikament mehr Möglichkeiten für einen “Erfolg”, nur durch Zufall.

Bei der wissenschaftlichen Analyse klinischer Studienergebnisse muss das Vorhandensein vieler Endpunkte mit Vorsicht genossen werden. Denn wenn man viele Endpunkte misst, muss man einen höheren Standard dafür anstreben, wie bedeutend jeder positive Effekt ist, der gefunden wird.

Wissenschaftler müssen durch sorgfältige Berechnungen Rechenschaft für multiple Vergleiche ablegen, wenn sie die Ergebnisse klinischer Studien wissenschaftlichen Zeitungen oder der FDA melden. Jedoch waren HK-Wissenschaftler in

Presseveröffentlichungen und Nachrichtenmeldungen, welche oftmals die Informationsquelle für Patienten und Familien darstellt, nicht immer so vorsichtig.

Sind multiple Vergleiche wirklich von Belang?

Um Sie zu überzeugen, dass es wirklich von Belang ist in dieser Sache falsche Entschlüsse zu ziehen, zeigen wir anhand eines Beispiels, was alles falsch gehen kann, wenn das Problem der multiplen Vergleiche ignoriert wird.

Damals im Jahr 2005 testeten Wissenschaftler in einer klinischen HK-Studie ein Medikament namens Ethyl-EPA. Ethyl-EPA stabilisiert die Kraftwerke, welche den Gehirnzellen Energie geben und ihre Gesundheit verbessern, weswegen es Grund gab anzunehmen, dass es auch bei der HK hilft. Der primäre Endpunkt der Studie fragte, ob eine Ethyl-EPA Behandlung die Motorsymptome von HK-Patienten verbessern könnte und die sekundären Endpunkte fokussierten sich auf die Veränderungen anderer Symptome und Patientenuntergruppen.

Unglücklicherweise hat die Studie ihren primären Endpunkt nicht erreicht: Ethyl-EPA verbesserte die Motorsymptome von HK-Patienten nicht mehr als ein Placebo, ein Scheinmedikament. Basierend auf der schwarz-weiß Definition von Erfolg der FDA, schlug die Studie fehl.

Multiple Vergleiche zu ignorieren ist gefährlich, da es zu falschen Schlüssen über den Erfolg der klinischen Studie führen kann.

Quelle: freeimages.com

Jedoch bemerkten die Mathematiker, welche die Studie analysierten, etwas. Auch wenn der primäre Endpunkt fehlschlug, erreichte die Studie einen *sekundären* Endpunkt, welcher fragt, ob Ethyl-EPA die Motorsymptome von Patienten mit einer relativ geringen HK-Mutation verbessert. Deswegen schien es, als würde Ethyl-EPA tatsächlich funktionieren - allerdings nur für Patienten dieser spezifischen Gruppe.

Denken sie daran, obwohl die Symptome in dieser Patientenuntergruppe verbessert wurden, **war dies nicht** der primäre Endpunkt der Studie und man kann den Erfolg einer Studie nicht am sekundären Endpunkt festmachen. Wenn man dies macht, bringt es uns mitten in die Probleme multipler Vergleiche. Die Studie war nicht für multiple Endpunkte *konzipiert*, sie also so zu behandeln bringt uns in eine statistische Gefahrenzone - **in der unsere Schlüsse falsch sein könnten**.

Nichts desto trotz wurde eine neue klinische Studie, basierend auf dem "Erfolg" des sekundären Endpunkts konzipiert, um Ethyl-EPA bei HK zu testen. Diesmal war der primäre Endpunkt, ob Ethyl-EPA die Motorsymptome *spezifisch* bei Patienten mit geringer HK-Mutation verbessert. Leider verbesserte, wie auch in der Originalstudie, Ethyl-EPA die Motorsymptome *immer noch* nicht, auch nicht für diese spezifischen Patienten.

Darin liegt die Gefahr, multiple Vergleiche in klinischen Studien zu ignorieren - und sekundäre Endpunkte wie primäre Endpunkte zu interpretieren. Wenn wir sie nicht an multiple Vergleiche anpassen, sind die Schlüsse, die wir aus den Studien ziehen, oftmals falsch. Diese falschen Schlüsse erhöhen unsere Hoffnungen in das Medikament, nur um sie dann zu zerschmettern, wenn die nachfolgende Studie scheitert.

Das Fazit ist, wenn ein Unternehmen, ein Wissenschaftler, oder die Nachrichten über Ergebnisse von klinischen Studien berichten, ist es wichtig zu wissen, ob sie ihre Studie an multiple Vergleiche angepasst haben. Falls sie das nicht getan haben, genießen sie diese Ergebnisse lieber mit Vorsicht.

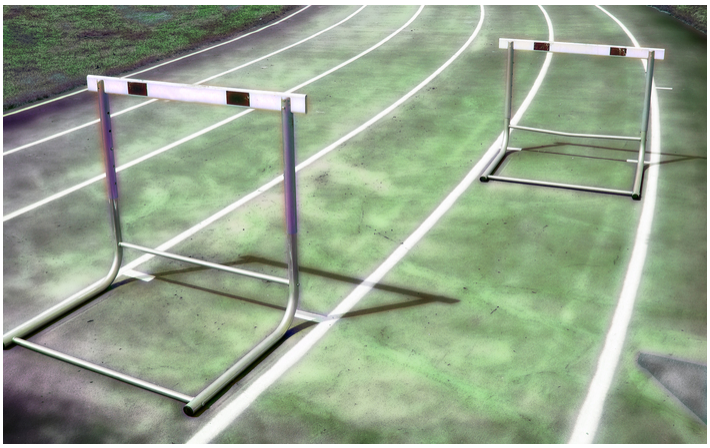
Klinische Studien 102: Phasen

Da wir nun die Grundlagen der Designs von klinischen Studien kennen - und warum das korrekte Verständnis dieser Grundlagen wichtig für die Interpretation der Studienergebnisse ist - können wir nun detaillierter über die Arten von klinischen Studien sprechen, die ein potentielles Medikament auf dem Weg zur Genehmigung der FDA durchläuft.

Man kann sich klinische Studien wie einen Hürdenlauf vorstellen, den jedes potentielle Arzneimittel überwinden muss, bevor es für den menschlichen Gebrauch genehmigt wird. Diese Hürden lassen den Weg bis zur verfügbaren Behandlungen lang erscheinen, aber sie sind tatsächlich entscheidend, um die Menschen davor zu schützen, eventuell gefährlichen - oder einfach ineffektiven - Medikamenten ausgesetzt zu sein.

Phase 1: Ist dieses Medikament sicher?

Die erste Hürde, die ein potentielles neues Medikament nehmen muss, ist zu beweisen, dass es für Menschen sicher ist. Traditionell wird dies in einer klinischen Phase 1 Studie beobachtet, in der eine kleine Gruppe gesunder Freiwilliger das Medikament einnimmt und man beobachtet, ob unerwartete Gefahren auftreten.



Klinische Studien sind wie ein Hürdenlauf, den jedes neue potentielle Medikament überwinden muss, bevor es für die Verwendung von Menschen zugelassen werden kann.

Quelle: freeimages.com

Da **Sicherheit** der primäre Endpunkt ist, können Phase 1 Studien nur erfolgreich sein, wenn das neue Medikament verabreicht werden kann, ohne inakzeptable Nebenwirkungen hervorzurufen.

Personen, die an klinischen Phase 1 Studien teilnehmen sind oftmals die ersten Menschen, die das neue Medikament erhalten, weswegen diese Studien normalerweise mit (mutigen!) gesunden Freiwilligen, anstatt anfälligen Patienten durchgeführt werden. Jedoch beurteilen manche der Phase 1 Studien - welche ein Risiko beinhalten, sodass es ethisch inakzeptabel wäre gesunde Probanden einzuschließen - die Sicherheit an Patienten. Beispielsweise werden Phase 1 Studien für Medikamente zur Krebs-Chemotherapie normalerweise an Krebspatienten durchgeführt, da diese Medikamente stark giftig sind und starke Nebenwirkungen haben.

Ebenfalls werden Phase 1 Studien für HK-Medikamente manchmal, aus ethischen Bedenken, eher an HK-Patienten getestet, als an gesunden Freiwilligen. Eine dieser Studien ist die Isis Studie, die derzeit mit einem Huntingtin-Stummschaltungsmedikament die Sicherheit an HK-Patienten beurteilt, da es unethisch wäre an gesunden Freiwilligen eine Studie mit invasiver Medikamentengabe durchzuführen.

Ungeachtet dessen, wer die Probanden der Phase 1 Studie sind, das was man tatsächlich über die Studie wissen muss ist, **dass nur Interesse daran besteht, ob das Medikament toxisch ist** - *nicht* ob die Patienten wirklich davon profitieren. Wenn man also einen Zeitungsartikel über ein neues HK-Medikament liest, welches die Hürde der Phase 1 überwunden hat, muss man im Gedächtnis behalten, dass dieses Medikament immer noch eine Menge an Hürden zu überwinden hat, bevor man weiß, ob es bei der HK hilft.

Phase 2: Ist das Medikament nützlich?

Natürlich, das Endziel von klinischen Studien ist es zu beweisen, dass das neue Medikament *tatsächlich* bei der HK hilft. In diese Richtung gehend, kann ein potentielles neues Medikament, welches die Phase 1 Sicherheits-Hürde überwunden hat, zu einer Phase

2 Studie antreten, die **mehr auf die Sicherheit fokussiert ist und die Wirksamkeit testet**. Die klinische Phase 2 Studie hat normalerweise eine größere Anzahl an Patienten, als eine Phase 1 Studie (von Dutzend zu Hunderten), und sie werden grundsätzlich mit Personen durchgeführt, welche die Krankheit haben, die das Medikament behandeln soll.

Überraschenderweise werden aber auch manche Phase 2 Studien mit Sicherheit als primären Endpunkten gestaltet - genau wie bei Phase 1 Studien. Prequel, Reach2HD, DIMOND, Omeros' OMS824 study, and Pre-CREST sind Sicherheits-fokussierte Phase 2 Studien zur HK. Die meisten dieser Studien enthalten ebenfalls eine Menge sekundäre Endpunkte, welche die HK-Symptome der behandelten Patienten beobachten, aber der ultimative Erfolg oder Misserfolg hängt *lediglich* von der Sicherheit des getesteten Medikaments ab.

Wenn sie aufgepasst haben, möchten sie möglicherweise wissen, warum Arzneimittelhersteller überhaupt eine Phase 2 Studie mit Sicherheit als primären Endpunkt laufen lassen. Welche neuen Erkenntnisse, die nicht schon aus Phase 1 der Studie bekannt sind, würden sie durch das erneute meistern dieser Hürde gewinnen?

Zuallererst, wie bei vielen Dingen im Leben geht es zum Teil um Geld. Klinische Studien an Menschen durchzuführen ist unglaublich teuer. Viele Unternehmen, die HK-Studien durchführen, haben einfach nicht die Ressourcen, um eine auf Wirksamkeit fokussierte Phase 2 Studie durchzuführen. Eine erfolgreiche auf Sicherheit fokussierte Phase 2 Studie, könnte allerdings Förderungen für spätere Studien einbringen, um zu testen ob ein Medikament wirkt. Zweitens, wie bereits angemerkt, haben auf Sicherheit fokussierte Phase 2 Studien fast immer weitere *sekundäre* Endpunkte, die sich auf die Wirksamkeit fokussieren. Diese Endpunkte betrachten die Wirkungen des Medikaments für eine ganze Palette an Anzeichen auf Krankheiten - ohne das Risiko einzugehen die Studie zum Scheitern zu bringen, falls manche dieser Endpunkte nicht erreicht werden. Diese Informationen helfen den Unternehmen eine spätere auf Wirksamkeit fokussierte Studie zu konzipieren, welche sich um die richtigen Endpunkte drehen und eine größere Chance auf einen Erfolg haben.

Manche Phase 2 Studien fragen direkt danach, ob ein Studienmedikament die Krankheit beeinträchtigt, welche es behandeln soll. Auf Wirksamkeit fokussierte Phase 2 Studien verwenden eine Messung der Symptome als primäre Endpunkte. Bei HK sind solche auf Wirksamkeit fokussierten Phase 2 Studien die Amaryllis, Legato, und Pride-HD Studien. Falls bekannt wird, dass eine dieser Studien ihren primären Endpunkt erreicht hat, weiß man, dass das getestete Medikament tatsächlich die HK-Symptome beeinflusst.

Die Quintessenz davon ist, dass die klinischen Phase 2 Studien, sowohl Sicherheit, als auch Wirksamkeit fokussierte Studien, potentielle neue HK-Medikamente näher zu den Kliniken bringen. Praktisch gesehen, sollte man jedoch im Gedächtnis behalten **eine Phase 2 Studie**

erfolgreich zu nennen, ist nur dann von Belang, wenn man den primären Endpunkt der Studie kennt. Egal wie aufregend die Ergebnisse ausfallen, eine Phase 2 Studie, die nur auf Sicherheit fokussiert ist, ist nicht ausreichend um ein Medikament zu zulassen.

*Denk daran: zu sagen, dass eine Phase 2 Studie erfolgreich ist, ist**nur** von Bedeutung, wenn man den primären Endpunkt kennt.*

Phase 3: Funktioniert dieses Medikament wirklich?

Potentielle neue Medikamente, die die Phase 2 der klinischen Studie erfolgreich abgeschlossen haben, können nun ihre finale Hürde auf ihrem langen Weg der Medikamentenzulassung in Angriff nehmen - das Testen in einer Phase 3 Studie.

Die klinischen Phase 3 Studien sind normalerweise sehr große, teure und lange Studien, die sorgfältig die Auswirkungen eines Medikaments auf Krankheitssymptome beobachten. Phase 3 Studien beinhalten oft hundert bis tausend Patienten und können Jahre bis zur Beendigung benötigen. Diese Studien dauern so lang, da sie zum einen so viele Probanden umfassen und, weil sie zum anderen diese Probanden über einen langen Zeitraum hinweg beobachten, um zu beweisen, dass das Medikament wirklich sicher und wirksam ist.

Phase 3 Studien haben immer **Wirksamkeit** als primären Endpunkt. Eine erfolgreiche klinische Studie der Phase 3 ermöglicht uns mit Zuversicht zu sagen, dass das getestete Medikament einen spezifischen, in Frage stehenden Aspekt der Krankheit verbessert. Deswegen sind auch diese Studien diejenigen, welche uns wirklich aufgeregt werden lassen, wenn es um die HK-Behandlungen geht.

Einige Phase 3 Studien mit HK Medikamenten, die bis heute durchgeführt wurden, sind 2Care, CREST-E, HART, MermaiHD und First-HD. Jedes Mal, bestand die Hoffnung, dass die Studie auf jeden Fall zeigt, dass das untersuchte Medikament bei den HK-Symptomen hilft. Aber nur eine der jüngsten HK-Studien, First-HD, war erfolgreich darin, ihren primären Endpunkt zu erreichen.

Diese hohe Rate an gescheiterten Phase 3 Studien ist nicht ungewöhnlich und reiht sich in einer Linie mit der Lage von Studien für andere Krankheiten ein. Dies heißt aber natürlich nicht, dass zukünftige klinische Studien der Phase 3 mit HK-Medikamenten zum Scheitern verdammt sind. Stattdessen ist die hohe Misserfolgsrate lediglich eine Erinnerung daran,

dass es nicht leicht ist, Medikamente für die Behandlung von HK zu finden - aber auch eine daran, dass da draußen eine Reihe an wirklich intelligenten, engagierten Menschen ist, um dies zu lösen.

Der Merksatz

Alle, die mit HK arbeiten - Forscher, Ärzte und Familien - wollen nichts mehrals die Entwicklung wirksamer Therapien für diese Krankheit. Um das zu erreichen, benötigt man erfolgreiche Phase 3 Studien zu wirksamen Therapien.

Auf dem Weg zu diesem Ziel werden viele Phase 1 und 2 Studien durchgeführt werden. Einen kühlen Kopf zu bewahren, während man über diese frühen Studien liest - und ihr verwirrendes Aufgebot an Endpunkten - ist eine gute Strategie um Enttäuschungen zu vermeiden. Merken sie sich: **der primäre Endpunkt der Studie, ist das was wirklich zählt** , den Endpunkt zu kennen hilft einem dabei zwischen Hoffnung und Hype bezüglich Veröffentlichungen klinischer Studien zu entscheiden.

Schlussendlich: es erscheinen viele neue Studien am Horizont und der Trend geht zweifellos zu größeren und besseren Studien - wir sind also hoffnungsvoll, dass es in der nahen Zukunft neue Ergebnisse von klinischen Studien der Phase 1, 2 und 3 auf HDBuzz zu lesen gibt.

Die Autoren haben keinen Interessenkonflikt offenzulegen. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...

GLOSSAR

sekundäre Endpunkte Zusätzliche Fragen, die in klinischen Studien gestellt werden, sie helfen Wissenschaftlern die behandelten Patienten so weit wie möglich zu überwachen, um die Wirkungen eines Medikaments festzulegen

Klinische Studie Sehr sorgfältig geplante Experimente werden erstellt, um spezifische Fragen darüber zu beantworten, wie ein Medikament sich auf den Menschen auswirkt.

Wirksamkeit Ein Maßstab, ob eine Therapie wirkt.

Placebo Ein Placebo ist ein Scheinmedikament, das keine Wirkstoffe enthält. Der Placeboeffekt ist ein psychologischer Effekt, der verursacht, dass sich Menschen besser fühlen, auch wenn sie eine Tablette einnehmen, die nicht wirkt.

ALS Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.

© HDBuzz 2011-2024. Die Inhalte von HDBuzz können unter der Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License frei verbreitet werden.
HDBuzz ist keine Quelle für medizinische Ratschläge. Für weiterführende Informationen siehe hdbuzz.net

Erstellt am 7. Januar 2024 — Heruntergeladen von https://de.hdbuzz.net/203