

## Modul 2

### Aufgabe 2: Klinische Studien: Wie Medikamente getestet werden (Hintergrundinformationen)

In klinischen Studien wird – je nach Grösse der Studie – an einigen wenigen bis vielen tausend Patienten untersucht, ob ein Wirkstoff sicher und wirksam ist. Untersucht wird auch, welche Dosierung ideal ist. Die klinische Studie steht am Ende der Wirkstoffentwicklung. Solche Studien sind weltweit gesetzlich vorgeschrieben und geregelt. Die Einhaltung der Regeln wird durch staatliche Prüforganisationen streng überwacht, um die Sicherheit der Patienten zu gewährleisten. In der Schweiz ist es die Swissmedic, in Europa die European Medicines Agency (EMA) und in den USA die Food and Drug Administration (FDA).

Wenn das Resultat der klinischen Studien positiv ist, kann die Zulassung für das Medikament erteilt werden. Aber auch nach der Markteinführung wird das Medikament noch überwacht, um allenfalls auch seltenere Nebenwirkungen entdecken zu können.

Bevor ein Medikament in der Apotheke erhältlich ist, hat es bereits einen weiten Weg hinter sich, der durchschnittlich acht bis zehn Jahre dauert und rund CHF 1000 Millionen an Entwicklungskosten verbraucht.

#### Der Werdegang eines Medikaments

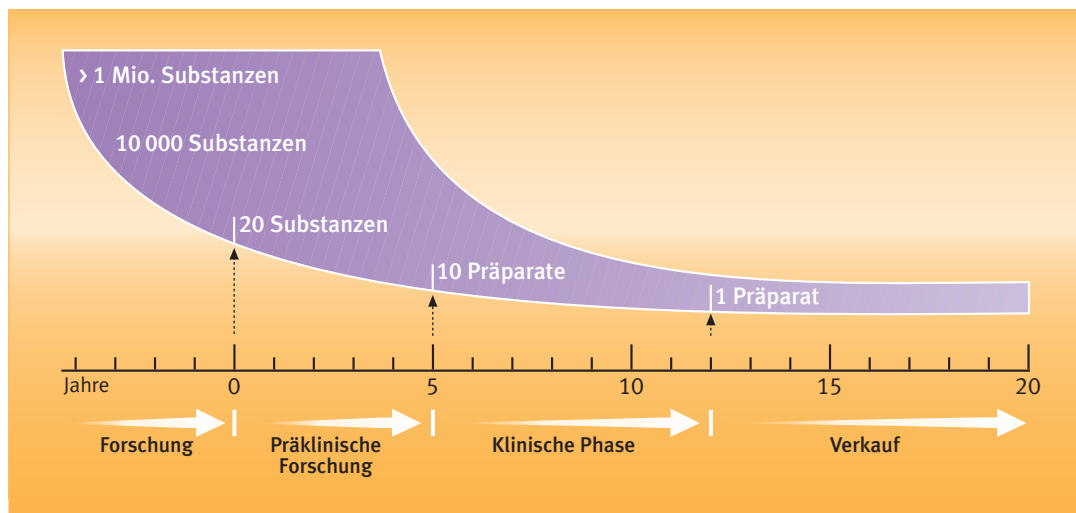
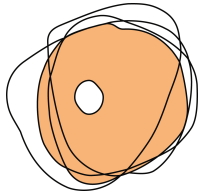


Abbildung 1: Der Werdegang eines Medikaments (Quelle: Interpharma)

#### Forschung

Zunächst müssen Forscher entscheiden, gegen welche Erkrankung sie einen neuen Wirkstoff entwickeln möchten. Danach beginnt die Suche nach einem Wirkstoff. Bis zu einer Millionen



Substanzen und mehr werden untersucht, um zu analysieren, ob sie einen Effekt auf die Erkrankung haben könnten.

### **Präklinische Forschung**

Die vielversprechendsten Substanzen werden ausgewählt und dann im Labor weitergetestet. Dazu werden auch Tierversuche durchgeführt. Nach erfolgreicher Austestung liegen erste Daten zur Verträglichkeit, Sicherheit und Dosierbarkeit vor. Mit diesen Daten lässt sich erkennen, wie eine bestimmte Form des späteren Medikaments am Menschen für eine erfolgreiche Behandlung der Erkrankung angewendet werden kann. Diese Phase kann bis zu einem Jahrzehnt dauern. Nur erfolgversprechende und als sicher geltende Wirkstoffe kommen in die nächste Phase. Die zu prüfenden Wirkstoffe werden dann in eine bestimmte Medikamentenform eingearbeitet, z. B. Tropfen oder Kapseln. Das sind die Prüfpräparate für die klinische Prüfung.

### **Klinische Phasen**

Für jede klinische Studie wird vor Beginn in einem ausführlichen Prüfplan (Studienprotokoll) der bisherige wissenschaftliche Kenntnisstand zu dem zu untersuchenden Arzneimittel oder Medizinprodukt dokumentiert und genau beschrieben, was, wann, wie untersucht werden soll. Die Prüfärzte sind verpflichtet, die Studie nach den vorgegebenen Richtlinien durchzuführen. Eine Ethik-Kommission begutachtet, ob die Durchführung korrekt geplant ist.

#### **Klinische Studien mit Stammzellen (Stand Februar 2013)**

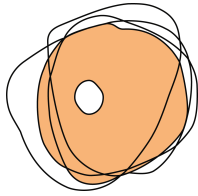
Es gibt mittlerweile eine grössere Anzahl von klinischen Studien mit adulten Stammzellen zur Therapie verschiedener Erkrankungen, zum Beispiel zur Behandlung von Rückenmarkverletzung. Zudem laufen auch einige Studien mit embryonalen Stammzellen für die Therapie von Querschnittslähmung, Netzhautdegeneration und eine Ministudie für eine seltene degenerative Gehirnerkrankung, die bei Kindern unweigerlich zum Tode führt. Eine grössere Studie zur Therapie von Querschnittslähmung wurde abgebrochen.

Weitere Informationen: [www.eurostemcell.org/de/clinical-trials](http://www.eurostemcell.org/de/clinical-trials)

Die klinische Phase wird in vier weitere Phasen unterteilt. Grundsätzlich gilt in allen Phasen: Bei zu starken Nebenwirkungen oder wenn die Wirkung zu gering ausfällt, wird die Entwicklung abgebrochen.

#### **Phase 1:** Prüfung mit gesunden Menschen und/oder besonders ausgewählten Erkrankten

Phase 1-Studien werden meist an gesunden Studienteilnehmern (Probanden) durchgeführt. Ziel ist es, zu erkennen, wie sich der Wirkstoff im Körper verteilt, wie er ausgeschieden wird und in welchem Zeitraum dies geschieht (Pharmakokinetik). Ganz grundsätzlich geht es auch darum, festzustellen, ob die Konzeptidee funktioniert (proof of concept). Verläuft diese Phase erfolgreich und sind die Nebenwirkungen des Medikaments nicht zu gravierend, folgt die nächste Phase.



**Phase 2:** Prüfung an wenigen Erkrankten

Die Studien der Phase 2 werden an kranken Menschen durchgeführt (typischerweise 100 bis 500 Patienten). Neben einer ersten Einschätzung der Wirksamkeit gilt es hier, die optimale Dosierung (günstigstes Verhältnis zwischen Wirkungen und Nebenwirkungen) zu finden.

**Phase 3:** Prüfung an einer grösseren Anzahl Patienten

Nun folgen Untersuchungen an grösseren Patientengruppen (2000 bis 5000 Patienten). Ab dieser Phase werden Studien oft «doppelblind» durchgeführt: Weder der Arzt noch der Patient weiss, ob der Patient den Wirkstoff erhält oder die herkömmliche Behandlung (oder ein Placebo). Auf diese Weise kann festgestellt werden, ob der neue Wirkstoff tatsächlich besser ist als eine herkömmliche Behandlung. Diese Studien bringen im Idealfall den für den Zulassungsantrag erforderlichen Beleg der Wirksamkeit und Unbedenklichkeit des Arzneimittels.

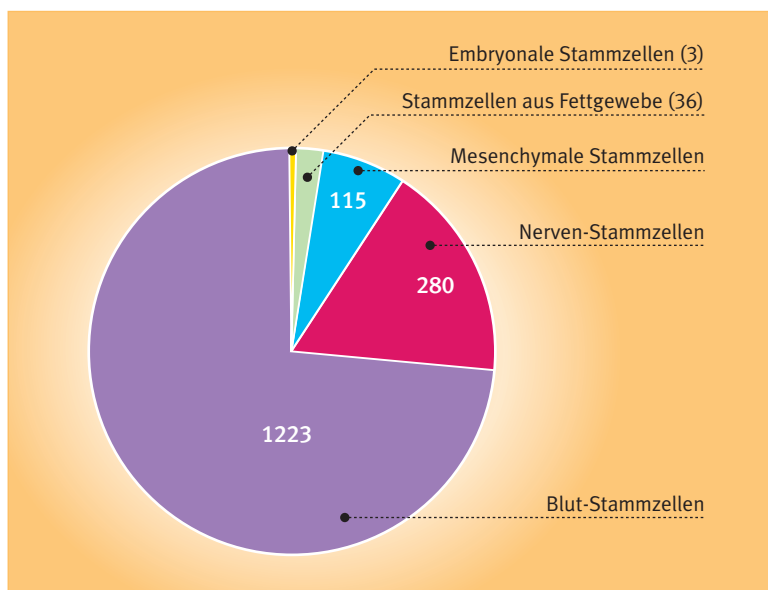


Abbildung 2: Der überwiegende Teil der klinischen Studien wird mit Blutstammzellen durchgeführt (Stand Juli 2012, Quelle: ClinicalTrials.gov)

Quellen:

- Interpharma, [www.interpharma.ch](http://www.interpharma.ch)
- ClinLife, [www.clinlife.ch](http://www.clinlife.ch)