



Glossar für klinische Studien

Häufige Begriffe in der Beschreibung klinischer Studien:

Studienprotokoll

Randomisierung

Auf diese Weise wird sichergestellt, dass eine klinische Studie fair abläuft und dass die Wirkungsweise des neuen Wirkstoffkandidaten mit den Effekten von bereits zugelassenen Medikamenten verglichen werden kann, die den derzeitigen Behandlungsstandard darstellen. Falls es keine Therapie gibt, kann der Produktkandidat auch mit einem Placebo verglichen werden. Bei der Randomisierung werden die Studienteilnehmerinnen und -teilnehmer nach dem Zufallsprinzip in zwei (oder mehr) Gruppen aufgeteilt, wobei eine Gruppe den neuen Wirkstoffkandidaten erhält und die andere Gruppe die Standardbehandlung oder ein Placebo.

Placebo

Hierbei handelt es sich um ein sogenanntes Scheinmedikament, das nicht den echten Wirkstoff enthält. Es sieht so aus wie der echte Arzneistoff und fühlt sich auch so an, sodass die Ärztinnen und Ärzte, die es verabreichen, nicht wissen, ob es sich um den echten Wirkstoffkandidaten handelt oder nicht. Dies hilft dem Behandlungsteam dabei, festzustellen, ob der Wirkstoffkandidat tatsächlich einen Effekt auf die Studienteilnehmerinnen und -teilnehmer hat.

Verblindung

Dieser Begriff wird in einer klinischen Studie verwendet, um anzugeben, ob die Patientin bzw. der Patient und/oder ihre/seine Ärztin bzw. Arzt darüber informiert werden, ob sie bzw. er das zu prüfende Arzneimittel bekommt oder nicht. Wenn dies nur die Patientin bzw. der Patient nicht weiß, spricht man von einer einfach verblindeten Studie, oder auch Einfachbildstudie. Falls sowohl Patientin bzw. Patient als auch Ärztin bzw. Arzt nicht darüber Bescheid wissen, spricht man von einer doppelt verblindeten Studie, oder auch Doppelblindstudie. Die Verblindung einer klinischen Studie trägt dazu bei, voreingenommene Meinungen und Erwartungen des Studienarzt-Teams zu vermeiden und die Studie so genau wie möglich zu gestalten.

Messgrößen für den Behandlungserfolg

Der primäre Endpunkt

ist die wichtigste Messgröße zur Beurteilung des Erfolgs einer klinischen Studie und der Hauptgrund für deren Durchführung. Er bestimmt auch, wie die Studie designt ist und wie viele Teilnehmer benötigt werden, um die Effekte eines Wirkstoffkandidaten in ausreichendem Umfang zu beurteilen. In Phase-1- oder Phase-2-Studien kann es auch mehr als einen primären Endpunkt geben. Ein typischer primärer Endpunkt, um den Effekt eines Therapiekandidaten zu beurteilen, ist das Überleben. Bei schwerwiegenden und lebensbedrohlichen Erkrankungen wie Krebs können wir die Entwicklung und Zulassung des Produktkandidaten durch eine frühzeitige Bewertung des Nutzen-Risiko-Verhältnisses beschleunigen, wenn es sich für die Patientinnen und Patienten in der Studie als vorteilhaft erweist. Dies hilft uns dabei, unseren Therapiekandidaten schneller für andere Krebspatienten zur Verfügung zu stellen.

Sekundäre Endpunkte

sind zusätzliche, im Voraus festgelegte Messgrößen, die in klinischen Studien verwendet werden und normalerweise nicht für das Studiendesign und die Teilnehmeranzahl ausschlaggebend sind. Sie sind generell nicht ausreichend, um die Wirksamkeit einer Behandlung zu beeinflussen, können aber Hinweise auf bestimmte Mechanismen des Produktkandidaten geben, die eine klinische Wirkung zeigen.

Weitere Endpunkte

können klinisch bedeutsame Wirkungen umfassen, die im Rahmen der Behandlung mit dem Produktkandidaten erwartet werden. Diese Wirkungen können selten auftreten und somit nicht ausreichend sein, um einen Behandlungseffekt aufzuzeigen. Sie können auch verwendet werden, um neue Hypothesen bezüglich des Wirkstoffs zu untersuchen.

Gesamtüberleben (overall survival, OS)

Damit ist gemeint, wie lange ein Patient, der unseren Therapiekandidaten erhält, lebt. Dies wird normalerweise ab Beginn der Behandlung in der Studie gemessen. Da Krebs häufig eine lebensbedrohliche Krankheit ist, gibt dieses Ergebnis einen Hinweis darauf, wie viel länger eine Person Zeit mit ihren Angehörigen verbringen kann, wenn sie behandelt wird.

Progressionsfreies Überleben (progression-free survival, PFS)

Diese Messgröße bezieht sich darauf, wie lange eine Person lebt, ohne dass sich die Krankheit verschlimmert. Dies beinhaltet unter anderem ein Fortschreiten des Tumors, eine Metastasierung und/oder den Tod. Eine Verlängerung des progressionsfreien Überlebens kann positive Auswirkungen auf die psychische Verfassung der Patientin bzw. des Patienten haben und ihre bzw. seine Lebensqualität erhöhen.

Krankheits-/Rückfallfreies Überleben (disease-/replapse-free survival, DFS/RFS)

Dieser Studienendpunkt gibt die Zeitspanne an, in der eine Person nach Abschluss der Behandlung ohne Symptome im Zusammenhang mit der Krankheit oder deren Wiederauftreten lebt. Dieser frühe Studienendpunkt kann eine Einschätzung für die Heilungsrate mit dem Therapiekandidaten geben und ist eine Messgröße, die schneller erhoben werden kann als das OS, insbesondere in einem frühen Krankheitsstadium.

Gesamtansprechrates (overall response rate, ORR)

Dies ist der Anteil der Patientinnen bzw. Patienten in der Studie, deren Tumor nach der Behandlung vollständig verschwunden ist oder sich deutlich verkleinert hat. Die ORR ist die Summe von drei verschiedenen Ansprechrates über einen bestimmten Zeitraum während der Studie. Hierzu gehören die vollständigen Ansprechrates (complete responses, CRs) – die Anzahl der Patientinnen bzw. Patienten, bei denen kein Tumor mehr nachweisbar ist – sowie die teilweisen Ansprechrates (partial responses, PRs) – die Anzahl der Patientinnen bzw. Patienten, bei denen eine Verringerung der TumorgroÙe und keine neuen Tumore festgestellt wurden.

Dauer des Ansprechens (duration of response, DoR)

Die Zeitspanne, in der ein Tumor auf die Behandlung anspricht, ohne dass er wächst oder sich ausbreitet.

Die Behandlungsmöglichkeiten für Krebs entwickeln sich ständig weiter. Aus diesem Grund werden neue oder angepasste Messgrößen für klinische Studien benötigt, mit denen die Wirksamkeit einer Behandlung genauer gemessen werden kann.

Pathologisch vollständiges Ansprechen (pathological complete response, pCR)

Im Anschluss an eine medikamentöse Behandlung werden Proben aus dem Gewebe, in dem sich der Tumor befand, entnommen und unter einem Mikroskop untersucht. Wenn der Krebs ein pCR aufweist, bedeutet dies, dass die Krebsbehandlung dazu geführt hat, dass keine Krebszellen mehr nachweisbar sind. Diese Messgröße kann schneller erhoben werden als OS und PFS und ist ein guter Prognosewert dafür, dass die Krankheit nicht wieder auftreten wird.

Kriterien für immunbedingtes Ansprechen (immune-related response criteria, iRECIST)

Diese Kriterien werden hauptsächlich in Studien mit Krebsimmuntherapien zur Behandlung solider Tumore verwendet und beinhalten Reaktionen, die bei herkömmlichen Behandlungskriterien nicht beobachtet werden. Obwohl es sich nicht um einen Endpunkt handelt, berücksichtigen die iRECIST eine potenzielle Vergrößerung des Tumors aufgrund des Eindringens von Immunzellen in den Tumor.

Minimale Resterkrankung (minimal residual disease, MRD)

Diese Messgröße bezieht sich auf Krebszellen, die nach der Behandlung verbleiben und die mit herkömmlichen Scans oder Tests nicht nachgewiesen werden können. Sie kann ein früher Vorhersagewert für ein PFS sein. Der Begriff wird häufig bei der Behandlung von Patienten mit Blutkrebs verwendet.

Weitere Informationen über unsere klinischen Studien finden Sie unter clinicaltrials.gov und [EudraCT](https://eudract.eu).