

## **Rare Disease Day 2023**

„Leben mit einer seltenen Erkrankung“

Abstract Vortrag Prof. Tanja Stamm

Institut für Outcomes Research, MedUni Wien

### **“Herausforderungen beim Design von Studien im Bereich Rare Diseases“**

Klinische Studien sind nötig für die Zulassung neuer Medikamente. Diese Studien laufen nach festen Regeln ab und werden streng überwacht, damit die Sicherheit der Patient\*innen gewährleistet ist. Die Studien sollen klären, ob ein Arzneimittel sicher, verträglich und wirksam ist. Dazu ist es notwendig, eine ausreichende Anzahl an Patient\*innen für die Teilnahme an der Studie zu gewinnen.

In den meisten Fällen profitieren Patient\*innen selbst von der Teilnahme an klinischen Studien: Sie werden engmaschig von Spezialist\*innen für ihre Krankheit betreut, erhalten die neuesten Therapien, die gerade verfügbar sind und haben so die Chance, dass sich ihr Gesundheitszustand bessert beziehungsweise ihre Beschwerden durch das neue Präparat Linderung erfahren.

Gerade bei seltenen Erkrankungen, wo die Anzahl der Patient\*innen naturgemäß gering ist, kann es eine Herausforderung sein, eine ausreichend große Anzahl von Patient\*innen für eine klinische Studie zu finden. Forscher\*innen stellt sich also die Frage, wie sie effizient Patient\*innen in Studien einschließen können.

#### **Eine Studie – viele Spezialzentren**

Eine Möglichkeit, die sich bietet, ist, eine multizentrische Studie durchzuführen. Das heißt, dass sich mehrere Spezialzentren für die Erkrankung an einer Studie beteiligen, sodass insgesamt die erforderliche Zahl an Patient\*innen in die Studie eingeschlossen werden kann. Die Einbindung mehrerer Zentren bringt aber einen höheren Verwaltungsaufwand und somit höhere Gesamtkosten für die Studie mit sich.

#### **Digitale Methoden kommen zum Einsatz**

Digital verfügbare Krankheitsregister ermöglichen es Forscher\*innen diese auf spezielle Parameter der seltenen Erkrankung oder die Erkrankung selbst zu durchsuchen und gezielt betroffene Patient\*innen zur Teilnahme an der Studie einzuladen.

#### **Kooperation mit Patient\*innenorganisationen**

Zunehmend kooperieren Studienzentren bei der Suche nach Patient\*innen auch mit Patient\*innenorganisationen. Diese können die Kliniken und wissenschaftlichen Einrichtung bei der Kommunikation über aktuelle Studien unterstützen und ihre Mitglieder über die unterschiedlichen Studienregister informieren, in denen die laufenden Studien auffindbar sind.