

ZUGANG ZU KLINISCHEN STUDIEN

Die früheste Behandlungsbarriere
überwinden



SEPTEMBER 2022



**Wissenschaftliche
Forschung ist der erste
Schritt hin zu neuen
Behandlungsmethoden
und -verfahren.**

Einleitung

Der Zugang von Patienten zu Behandlungen beginnt mit der medizinischen Forschung. Klinische Studien sind ein entscheidender Teil der Entwicklung neuer Arzneimittel, Medizinprodukte und Diagnostika, die Gesundheit und Lebensqualität weltweit verbessern können.

In klinischen Studien wird festgestellt, ob neue Behandlungen sicher und wirksam sind. Für den Erfolg dieser Studien sind ausreichende Teilnehmerzahlen erforderlich, aber dafür gibt es verschiedene Hindernisse, u. a.:

- Mangelndes Bewusstsein der Öffentlichkeit für klinische Studien
- Kosten für die teilnehmenden Patienten
- Mangelnde Ansprache durch medizinische Fachkräfte
- Anhaltende Ungleichheiten in der Gesundheitsversorgung

Diese Hindernisse stellen die erste und grundlegendste Barriere für den Zugang von Patienten zur nächsten Generation innovativer Behandlungsmethoden und -verfahren dar.

Obwohl die Hindernisse sehr unterschiedlich aussehen können, bieten sich politischen Entscheidungsträgern, medizinischen Fachkräften und Patientenvertretern auch vielfältige Möglichkeiten zur Verbesserung des Zugangs und zur Förderung medizinischer Innovationen.¹

Klinische Studien auf einen Blick

Klinische Studien sind in vielerlei Hinsicht eine globale Erfolgsgeschichte.

Aktuell laufen ungefähr 419.000 Studien in 221 Ländern weltweit sowie in allen 50 US-Bundesstaaten.² Westeuropa verzeichnet die höchste Zahl neuer Studienstarts, gefolgt von Osteuropa und der Region Asien/Pazifik.³ Jedes Jahr werden Forschungsgelder von mehr als 160 Milliarden US-Dollar für klinische Studien ausgegeben. Allein 2021 führten sie zur Zulassung von 50 neuen Therapien durch die US-amerikanische Zulassungsbehörde FDA.

Diese beeindruckenden Zahlen spiegeln den Zeitaufwand und das Engagement wider, die für die klinische Forschung unabdingbar sind. Eine klinische Studie für ein neues Arzneimittel kann Investitionen in Höhe von Dutzenden bis Hunderten von Millionen US-Dollar sowie Hunderte oder Tausende von geeigneten Studienteilnehmern und Jahre oder sogar Jahrzehnte der Forschung erfordern, um Sicherheit und Wirksamkeit nachzuweisen.

Zudem entstehen indirekte Kosten. Diese umfassen Ausgaben für Forschung und wissenschaftliche Untersuchungen, die erfolglos bleiben, ebenso wie nicht erstattete Kosten, die Studienteilnehmern, ihren Familienangehörigen und Betreuungspersonen entstehen.

Diese Investitionen – und die Beharrlichkeit der Wissenschaftler – haben Patienten neue Möglichkeiten eröffnet. Beispiele für bahnbrechende Behandlungsmethoden und -verfahren allein aus dem letzten Jahrzehnt umfassen u. a. Immuntherapien zur Heilung von Krebserkrankungen bei Kindern, Mukoviszidose-Behandlungen, die die Lebenserwartung dramatisch verlängern, und lebensverändernde Arzneimittel für häufig stark belastende Erkrankungen wie Migräne. Millionen Leben konnten gerettet werden, da dank Jahrzehnten gemeinschaftlicher Forschung an der Entwicklung der mRNA-Technologie in Rekordzeit ein COVID-19-Impfstoff bereitgestellt werden konnte.

Klinische Studien laufen in 221 Ländern weltweit.

Besonders überzeugende Erfolgsgeschichten gibt es in der Forschung zu seltenen Erkrankungen. Während die Wahrscheinlichkeit einer Zulassung neuer Arzneimittel insgesamt zwischen 2011 und 2020 etwa 8 % betrug, konnten Behandlungen für seltene Erkrankungen mit einer Zulassungswahrscheinlichkeit von 17 % beeindruckende Erfolge erzielen.⁴

In Zahlen: Klinische Studien weltweit⁵



Schwierigkeiten bei der Aufnahme von Teilnehmern

Auf jede Erfolgsgeschichte kommen jedoch zahlreiche klinische Studien, die wegen zu geringer Teilnehmerzahlen abgebrochen werden.

Analysen zufolge werden 12 % der registrierten Studien abgebrochen, also die Aufnahme von Teilnehmern vorzeitig beendet. Der häufigste Grund sind zu geringe Teilnehmerzahlen.⁶ Gleichzeitig können fast 80 % der klinischen Studien ihre Fristen für die Teilnehmeraufnahme nicht einhalten, so dass sich die Entwicklung potenziell lebensrettender Behandlungen verzögert.⁷

Fraglos ist die Entwicklung von Arzneimitteln langwierig. Der Weg einer potenziellen Behandlung von der Laborbank an das Patientenbett kann 10 Jahre oder länger dauern. Schätzungen der Gesamtkosten variieren, diese können jedoch unter Berücksichtigung von Studien nach Markteinführung und

Opportunitätskosten bis zu 2 Milliarden US-Dollar betragen. Eine schleppende Teilnehmeraufnahme führt zur Nichteinhaltung von Fristen, zu höheren Kosten und insgesamt mehr Zeitaufwand und Ressourcenverbrauch als jeder andere Aspekt klinischer Studien. Auf die Rekrutierung von Teilnehmern entfallen fast 30 % der Entwicklungszeit und etwa 1,2 Milliarden US-Dollar an Kosten. Schwierigkeiten bei der Rekrutierung ziehen Verzögerungen von 1–6 Monaten nach sich.⁸

Jeder Tag Verzug lässt die Studienkosten steigen. 11 % der Studienzentren können keine Teilnehmer und 37 % nicht genug Teilnehmer finden: Daher sind Rekrutierungsstrategien eine wesentliche Komponente erfolgreicher Studien.⁹



Eine von zehn Studien wird abgebrochen, meist aufgrund unzureichender Teilnehmerzahlen.

Zugangsbarrieren verstehen

Schwierigkeiten beim Zugang, u. a. Probleme bei der Aufnahme in eine klinische Studie, haben unterschiedliche Gründe.

Mangelndes Bewusstsein

Viele Patienten wissen allgemein zu wenig über klinische Studien. Daten zeigen, dass ein höherer Bildungsstand, ein höheres Jahreseinkommen und die Verwendung des Internets mit besseren Kenntnissen verbunden sind.¹⁰ Allerdings hat nicht jeder diese Vorteile. Das kann der Grund dafür sein, aus dem 40 % der befragten Erwachsenen angeben, klinische Studien nicht ganz zu verstehen.¹¹ Diese Wissenslücke kann die Teilnahmemöglichkeiten der Patienten begrenzen und wirtschaftliche und gesundheitliche Ungleichheiten verschärfen.

Unzureichendes Engagement medizinischer Fachkräfte

Das Engagement medizinischer Fachkräfte ist ein weiteres Problem. Studien zufolge besprechen die meisten Ärzte klinische Studien zwar gern mit ihren Patienten, aber

weniger als 1 % verweist Patienten aktiv auf Studien. Ein wichtiger Faktor ist die laufende Information über Studienmöglichkeiten. Ärzte beschreiben, dass ihnen der Zugang zu aktuellen Studieninformationen fehlt, und etwa ein Drittel gibt an, sich aus Zeitgründen nicht über laufende Studien informieren zu können.¹²

Mangelnde Diversität

Auch die Rekrutierung einer vielfältigen Patientenbasis für Studien ist schwierig – obwohl dies entscheidend ist. Patienten können eine Krankheit sehr unterschiedlich erleben. Eine vielfältige Patientenbasis bietet Wissenschaftlern bessere Möglichkeiten zur Erfassung der Wirksamkeit und Ermittlung von Nebenwirkungen, die für bestimmte Untergruppen von Patienten spezifisch sind.

In Zahlen: Bewusstsein für klinische Studien



11 %

der Studienzentren können keine Patienten aufnehmen



40 %

der befragten Erwachsenen verstehen klinische Studien nicht



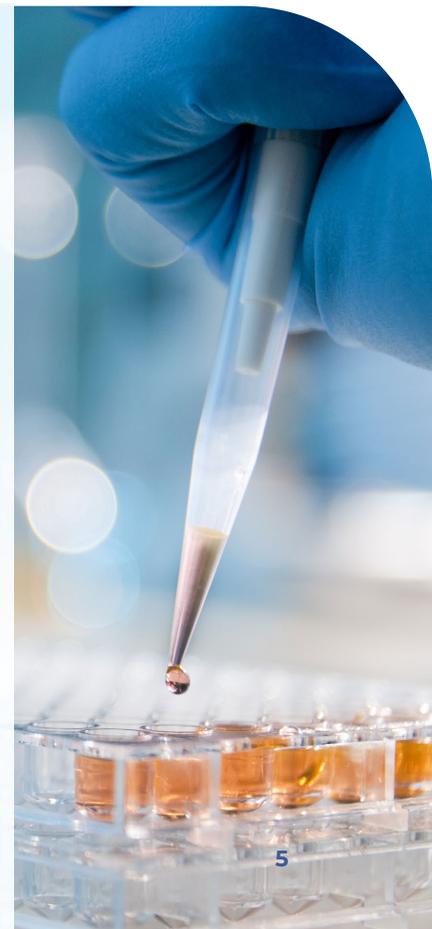
37 %

der Studienzentren erreichen ihre Aufnahmeziele nicht



32 %

der befragten Erwachsenen würden eigenen Angaben zufolge eine Teilnahme überlegen – nachdem sie verstanden haben, was eine klinische Studie ist^{13,14}





People of Color sind in mehr als der Hälfte der Phase-III-Studien in der Europäischen Union unterrepräsentiert.

Dabei war die Aufnahme von Patienten aus unterschiedlichen und unzureichend versorgten Gesellschaftsgruppen schon in der Vergangenheit schwierig oder für die Forscher schlicht keine Priorität.

People of Color sind in mehr als der Hälfte der Phase-III-Studien in der Europäischen Union unterrepräsentiert.¹⁵ Auch beim Studienpersonal mangelt es an Diversität. In Europa stammen weniger als 10 % der Studienmitarbeiter aus Minderheiten. Untersuchungen zeigen, dass diese beiden Faktoren verknüpft sind.

In klinischen Studien mit einem vielfältigen Personal wird Diversität der Patienten wahrscheinlicher als Erfolgsfaktor und die Rekrutierung unterschiedlicher Teilnehmer als Priorität gesehen.¹⁶

Kosten und Zeitaufwand für Teilnehmer
Zeitaufwand, Kosten und emotionale Belastung der Studieninteressenten stellen häufig eine weitere Barriere für den Zugang zu klinischen Studien dar. Zu diesen Hindernissen gehören Schwierigkeiten bei Ermittlung einer Studie, Anfahrten und Entfernung zum Studienzentrum, die Zeit für den umfangreichen Verwaltungsaufwand und die Kosten, die Patienten möglicherweise nicht erstattet werden.

Zu häufig überwältigt die Patienten schlicht der bürokratische Aufwand der Ermittlung einer Studie und der Anmeldung in dieser. Die Erteilung der Einwilligung nach Aufklärung ist beispielsweise ein langwieriger Prozess, bei dem interessierte Patienten vielleicht abspringen, weil sie dringend behandelt werden müssen.

Zwar decken die Träger klinischer Studien im Regelfall alle studienbezogenen Kosten und besonderen Untersuchungen ab, aber den Teilnehmern können trotzdem indirekte Kosten entstehen. Hierzu können Verdienstauffälle aufgrund von Fehlzeiten auf der Arbeit, Kinderbetreuung und nicht erstattete Fahrtkosten sowie selbst zu zahlende medizinische Kosten gehören.

Bedenken und Unsicherheiten der Patienten

Auch Ängste und Bedenken können Folgen für die Teilnahme haben. Viele Patienten kämpfen schon mit der Belastung durch ihre Erkrankung, durch Symptome und Krankheitsfolgen. Die Entscheidung über die Teilnahme an einer Studie bedeutet weitere Sorgen, wie die Angst vor der Anwendung eines ungeprüften Arzneimittels oder dem Erhalt von Placebo, da dann während eines entscheidenden Zeitraums kein erprobtes Arzneimittel angewendet wird.

Den Zugang zu klinischen Studien verbessern

Zur Verbesserung des Zugangs zu klinischen Studien ist eine konzertierte Anstrengung aller Beteiligten erforderlich.

- **Investoren:** Etwa 90 % der Investitionen stammen von Life-Science-Unternehmen, aber die medizinische Forschung erfordert einen stärkeren Einsatz der öffentlichen Hand.
- **Patienten:** Das Studiendesign wird immer stärker auf Patienten ausgerichtet, aber auch bei optimalem Design brauchen Studien teilnahmebereite Patienten für ihren Erfolg.
- **Medizinische Fachkräfte:** Zehntausende medizinische Fachkräfte beteiligen sich an der medizinischen Forschung, aber die große Mehrheit könnte für einen besseren Zugang von Patienten zu klinischen Studien mehr tun.
- **Politische Entscheidungsträger:** Politische Entscheidungsträger legen Regeln für klinische Studien fest, sollten aber den Zugang zu klinischen Studien als Priorität für die öffentliche Gesundheit sehen.

Insbesondere politische Entscheidungsträger können das öffentliche Bewusstsein für klinische Studien und den Zugang von Patienten zu diesen auf verschiedene Weisen verbessern.



Unterstützung der Aufnahme von Patienten

Politische Entscheidungsträger können die Information von Patienten über klinische Studien erleichtern. Patientenfreundliche Online-Datenbanken haben dabei entscheidende Bedeutung. Online-Datenbanken laufender Studien sollten so einfach zu verwenden sein wie eine Website im Online-Handel.

Politische Entscheidungsträger können zudem Gelder für klinische Studienberater bereitstellen, die bei der Anmeldung helfen und etwaige Fragen von Patienten beantworten können. Die allgemeinen Aufnahmeraten von Patienten, die durch entsprechende Berater unterstützt werden, kann bis zu 95 % betragen. Studien zu den Folgen einer Beratung für die Aufnahme von Minderheiten in klinische Studien zeigen, dass Strategien wie die Vereinfachung der Aufnahme und die Erstattung von Patientenkosten unter interessierten Afro-Amerikanern zu Teilnahmeraten von bis zu 86 % führten.¹⁷



Information und Unterstützung medizinischer Fachkräfte

Politische Entscheidungsträger sollten zudem medizinische Fachkräfte bei der Aufnahme von Patienten in klinische Studien unterstützen.

So könnten beispielsweise medizinische Fachkräfte für die Unterstützung von Patienten bei der Suche nach Studien und die Anmeldung dieser ebenso wie für die weitere Mitarbeit als Teil des Forschungsteams Anreize erhalten. Ein weiterer kritischer Aspekt sind Verbesserungen der elektronischen Patientenakten. Die Aktensysteme sollten so verbessert werden, dass die medizinischen Fachkräfte bei Eingabe einer Diagnose unmittelbar zu einer Datenbank klinischer Studien weitergeleitet werden, für die der Patient möglicherweise geeignet sein kann.



Diversität als Priorität

In klinischen Studien sind männliche, weiße Teilnehmer häufig überproportional vertreten. Das hat zu Wissenslücken der Forscher im Hinblick auf Erkrankungen und Krankheiten, präventive Faktoren sowie die Wirksamkeit von Behandlungen über unterschiedliche Bevölkerungsgruppen hinweg geführt.¹⁸

Politische Entscheidungsträger sollten finanzielle Unterstützung in Form von Drittmitteln und Steuernachlässen für Studien bereitstellen, deren Design und Aufnahmeziele die Teilnahme von Patienten aus unterschiedlichen ethnischen Gruppen fördern und an denen People of Color als Forscher beteiligt sind. Zudem sollten Behörden Ressourcen zur Ansprache von People of Color und zur Berücksichtigung wirtschaftlicher Ungleichheiten vorsehen, die diese Interessenten an der Teilnahme an Studien hindern oder ihnen diese erschweren.



Teilnahme als Priorität für die öffentliche Gesundheit

Medizinische Forschung ist ein wesentlicher Aspekt der öffentlichen Gesundheit. Politische Entscheidungsträger müssen zur Bewältigung von Problemen der öffentlichen Gesundheit zunächst das öffentliche Bewusstsein verbessern. Dies umfasst die Investition in Kampagnen zur Information der Öffentlichkeit über die Bedeutung medizinischer Forschung und die Möglichkeiten einer Studienteilnahme für Patienten. Bewusstseinskampagnen spielen – von Kampagnen für Rauchstopp bis hin zur Organspende – schon lange eine Rolle bei den Bemühungen politischer Entscheidungsträger für die Veränderung von Einstellungen und Verhaltensweisen der Öffentlichkeit.



Förderung verstärkter Investitionen in die Forschung

Um mehr Möglichkeiten für medizinische Fortschritte und bahnbrechende Neuerungen zu schaffen, muss medizinische Forschung weiter Privatgelder erhalten.

Hierfür sind öffentlich-private Partnerschaften, die Anreize für Investitionen schaffen, ebenso erforderlich wie politische Lösungen, die Innovationen belohnen, den Schutz des geistigen Eigentums von Forschern stärken und die Teilnahme an Studien und den Zugang zu neuen Therapien fördern.





Fazit

Ein besserer Zugang zu klinischen Studien wird Investitionen fördern und die Kosten der Forschung senken, die im Endeffekt das Leben von Patienten weltweit verbessern und verlängern kann.

Ebenso wie die Barrieren für den Zugang zu klinischen Studien vielfältig sind, sind dies auch die politischen Lösungen, die den Patienten bei der Überwindung dieser Barrieren helfen werden. Der Zugang lässt sich durch eine effizientere Studienaufnahme, Förderung der Diversität der Teilnehmer, ein verstärktes Engagement der medizinischen Fachkräfte und die Stärkung des Bewusstseins der Patienten verbessern.

Durch die gemeinsame Arbeit am Abbau der Barrieren können Patienten, medizinische Fachkräfte, Forscher und politische Entscheidungsträger den Weg für fundierte klinische Studien frei machen, die zur nächsten Generation neuer Arzneimittel und lebensrettender Behandlungen führen.

Literatur

1. Gibson M. 4 Common Challenges in Clinical Trials. Right Patient. 21 April 2021. <https://www.rightpatient.com/professional-patients/4-common-challenges-clinical-trials/>
2. U.S. National Library of Medicine. ClinicalTrials.gov. Accessed 28 June 2022. <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/resources/trends>
3. Tufts Center for the Study of Drug Development. New Research From Tufts Center for the Study of Drug Development Characterizes Effectiveness and Variability of Patient Recruitment and Retention Practices. 15-Jan-13. <https://www.biospace.com/article/releases/new-research-from-tufts-center-for-the-study-of-drug-development-characterizes-effectiveness-and-variability-of-patient-recruitment-and-retention-prac/>
4. Pharma Intelligence. 2021 Clinical Development Success Rates. Accessed 1 July 2022. <https://pharmaintelligence.informa.com/resources/product-content/2021-clinical-development-success-rates>
5. U.S. National Library of Medicine. ClinicalTrials.gov. Accessed 28 June 2022. <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/resources/trends>
6. Morgan C. Journal of Nuclear Cardiology; Statistical Issues Associated with Terminating a Clinical Trial Due to Slow Enrollment, 2017. J. Nucl. Cardiol. 24, 525–526 (2017). DOI: 10.1007/s12350-016-0702-1. <https://link.springer.com/article/10.1007/s12350-016-0702-1>
7. Clinical Trials Arena. Clinical Trial Delays: America's Patient Recruitment Dilemma. 13 July 2022. <https://www.clinicaltrialsarena.com/marketdata/featureclinical-trial-patient-recruitment/>
8. Chaudhari N, Ravi R, Gogtay NJ, Thatte UM. Recruitment and Retention of the Participants in Clinical Trials: Challenges and Solutions. Perspect Clin Res. 2020 Apr-Jun;11(2):64-69. DOI: 10.4103/picr.PICR_206_19. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC7342338/>
9. Tufts Center for the Study of Drug Development. New Research From Tufts Center for the Study of Drug Development Characterizes Effectiveness and Variability of Patient Recruitment and Retention Practices. 15-Jan-13. <https://www.biospace.com/article/releases/new-research-from-tufts-center-for-the-study-of-drug-development-characterizes-effectiveness-and-variability-of-patient-recruitment-and-retention-prac/>
10. Leiter A, Diefenbach MA, Doucette J, Oh WK, Galsky MD. Clinical Trial Awareness: Changes Over Time and Sociodemographic Disparities. Clin Trials. 2015 Jun;12(3):215-23. DOI: 10.1177/1740774515571917. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4667750/>
11. Comis R, Miller J, Aldigé C, Krebs L, Stoval E. Public Attitudes Toward Participation in Cancer Clinical Trials. Journal of Clinical Oncology. Volume 21, Issue 5. Accessed 22 July 2022. <https://ascopubs.org/doi/figure/10.1200/JCO.2003.02.105>
12. PatientCentra. Why Aren't Doctors Telling Their Patients About Clinical Trials? 2 May 2018. <https://www.patientcentra.com/patient-recruitment-insights/doctors-patients-clinical-trials>
13. Lamberti MJ, Mathias A, Myles JE, et al. Evaluating the impact of patient recruitment and retention practices. Therap Innov Regul Sci. 2012;46(5):573–80.
14. Comis, R. L., Miller, J. D., Aldigé, C. R., Krebs, L., & Stoval, E. (2003). Public Attitudes Toward Participation in Cancer Clinical Trials. Journal of Clinical Oncology (Vol. 21, Issue 5, pp. 830–835). American Society of Clinical Oncology. <https://doi.org/10.1200/jco.2003.02.105>
15. Tufts Center for the Study of Drug Development. Impact Report: Analysis & Insight into Critical Drug Development Issues. Volume 24, Number 3. May/June 2022. https://9468915.fs1.hubspotusercontent-na1.net/hubfs/9468915/May_Jun_22.jpeg
16. Tufts Center for the Study of Drug Development. Impact Report: Analysis & Insight into Critical Drug Development Issues. Volume 23, Number 6. November/December 2021. <https://f.hubspotusercontent10.net/hubfs/9468915/Impact%20Report%20Preview.png>
17. Uveges MK, Lansey DG, Mbah O, Gray T, Sherden L, Wenzel J. Patient Navigation and Clinical Trial Participation: A Randomized Controlled Trial Design. Contemp Clin Trials Commun. 2018 Sep 22;12:98-102. DOI: 10.1016/j.conctc.2018.09.003. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6197623/>
18. National Institute on Minority Health and Health Disparities (NIH). Diversity & Inclusion in Clinical Trials. 7. Februar 2022. <https://www.nimhd.nih.gov/resources/understanding-health-disparities/diversity-and-inclusion-in-clinical-trials.html>



Über die Global Alliance for Patient Access

Die Global Alliance for Patient Access (GAfPA) ist eine internationale Plattform für Gesundheitsdienstleister und Patientenvertreter, deren Ziel die Bereitstellung fundierter Informationen für den politischen Dialog über eine patientenorientierte Versorgung ist.

[GAfPA.org](https://www.gafpa.org)

