

# WILLKOMMEN im virtuellen Konferenzraum

„Klinische Studien mit hoher Relevanz für die Patientenversorgung“

- **Das Web-Seminar beginnt um 10:30 Uhr.**
- **Wir werden überwiegend die Anforderungen an Skizzen für klinische Studien besprechen und diese anhand einer Powerpoint-Präsentation erläutern.**
- **Sie können im Live-Chat Ihre Fragen stellen – natürlich auch zu systematischen Übersichtsarbeiten.**
- **Diese Fragen werden wir nach dem Vortrag im Live-Chat mündlich beantworten.**



## Web-Seminar

# BMBF-Förderbekanntmachung „Klinische Studien mit hoher Relevanz für die Patientenversorgung“

Dr. Eva Müller-Fries (DLR-PT)

Dr. Svenja Krebs (DLR-PT)

12. April 2018



# Übersicht

- Hintergrund und aktueller Gegenstand der Förderung
- Projekttypen und thematischer Fokus

## Speziell zu klinischen Studien:

- Formale Anforderungen
- Inhaltliche Anforderungen
- Begutachtung



# Hintergrund

## Ziele der Förderung klinischer Studien:

- Bessere Studienkultur und -qualität in Deutschland
- einheitlicher Maßstab nach internationalen Standards
- Höherer Stellenwert / wissenschaftliches Ansehen klinischer Studien bei forschenden Ärztinnen und Ärzten
- Stärkere Wahrnehmung des Prinzips der Evidenz-basierten Medizin bei Ärztinnen und Ärzten sowie Patientinnen und Patienten
- Bessere Akzeptanz in der breiten Öffentlichkeit



## BMBF-Fördermaßnahme seit 2013

### **Stärker im Fokus:**

Welche Bedeutung hat die Fragestellung für die betroffenen Patientinnen und Patienten und für den klinischen Alltag in Deutschland?

### **Schwerpunkt:**

Projekte, die durch das Schließen von Evidenzlücken eine hohe Relevanz für das deutsche Gesundheitssystem aufweisen



## Gegenstand der Förderung – welche Projekttypen können eingereicht werden?

- Wissenschaftsinitiierte, multizentrische, prospektive, kontrollierte klinische **Studien** zum Wirksamkeitsnachweis von Therapiekonzepten **mit confirmatorischer Zielsetzung**.
- Wissenschaftsinitiierte, **explorative klinische Studien**, die mit geringen Probandenzahlen einen ersten Wirksamkeitsnachweis für ein Therapiekonzept liefern. Insbesondere klinische Studien mit Maßnahmen zur Beteiligung von Patientinnen und Patienten bzw. deren Vertretungen sollen hier gefördert werden;
- **Systematische Übersichtsarbeiten** von klinischen Studien nach internationalen Standards



# Gegenstand der Förderung

## – welche Projekttypen können eingereicht werden?

### Offener thematischer Fokus!

- alle medizinischen und verwandten Fachgebiete sind zugelassen
- alle Arten von Interventionen sind zugelassen (z.B. Arzneimittel, Medizinprodukte, chirurgische oder psychotherapeutische Interventionen)

### Weitere Vorgaben

- Angemessene Berücksichtigung von Geschlechts- und altersspezifischen Aspekten
- Beteiligung von Patientinnen / Patienten oder ihre Vertretungen
  
- Keine Vorgaben zu Projektlaufzeit oder beantragtem Finanzrahmen





## Gegenstand der Förderung – welche Projekttypen können eingereicht werden?

- Wissenschaftsinitiierte, multizentrische, prospektive, kontrollierte klinische **Studien** zum Wirksamkeitsnachweis von Therapiekonzepten **mit confirmatorischer Zielsetzung**.
- Wissenschaftsinitiierte, **explorative klinische Studien**, die mit geringen Probandenzahlen einen ersten Wirksamkeitsnachweis für ein Therapiekonzept liefern. Insbesondere klinische Studien mit Maßnahmen zur Beteiligung von Patientinnen und Patienten bzw. deren Vertretungen sollen hier gefördert werden;
- **Systematische Übersichtsarbeiten** von klinischen Studien nach internationalen Standards





# Klinische Studien – Welche Kriterien sind zu erfüllen?

Allgemeine Kriterien
mit Patientinnen und Patienten
wissenschaftsinitiiert (IIT)
prospektiv
interventionell
angemessene Beteiligung von Patientinnen und Patienten

**Jedes Kriterium muss erfüllt sein!**

Explorative Studien	Konfirmatorische Studien
Explorative Zielsetzung für einen ersten Wirksamkeitsnachweis	konfirmatorische Zielsetzung für den Wirksamkeitsnachweis
	kontrolliert
	multizentrisch (außer in gut begründeter Ausnahme)



## Welche Studien können nicht gefördert werden? (Beispiele)

- Forschungsansätze zur Versorgung Kranker (Versorgungs- bzw. „effectiveness“-Studien)
- Studien mit ausschließlich gesundheitsökonomischen Fragestellungen
- Experimentelle Untersuchungen an gesunden Menschen
- Studien, an deren Ergebnissen einzelne Unternehmen der gewerblichen Wirtschaft ein unmittelbares wirtschaftliches Interesse haben



## Formale Anforderungen an Studienskizzen

- Maximal **6** Seiten inkl. Synopse [+ ggf. 1 Seite bei Wiedereinreichung einer konfirmatorischen Studie]
- **2 verpflichtende Anhänge** von **je maximal einer Seite** (Abbildung zum Ablauf der Intervention und Suchstrategie)
- Die **Templates** sind verpflichtend und dürfen nicht abgeändert werden!
- Zu **jeder Überschrift** sind Angaben zu machen
- Einreichung ausschließlich **online** über das Portal **PT-Outline**
- **Authentifizierung des/der Haupteinreichenden** mittels Formular („Projektblatt“)  
→ unterzeichnet auch von der zuständigen **Biometrikerin** / dem zuständigen **Biometriker**



# Inhaltliche Anforderungen an Studienskizzen

- **Beschreibung der Relevanz der Fragestellung:** Einbindung von Patientinnen/Patienten oder deren Vertretungen in der Projektplanung?
- **Beschreibung des Studiendesigns**
- **Statistische Analyse**
- **Ethische Auseinandersetzung** mit der Thematik
- **Studienmanagement:** Benötigte Expertise im Team vorhanden?  
Unterstützende Studiendienstleister?
- **Qualitätssicherung und Sicherheit**, z.B. Monitoring, DSMB...
- Realistische **Zeit- & Finanzplanung**



# Inhaltliche Anforderungen an Studienskizzen

- **Darlegung der Evidenz** auf Grundlage des aktuellen Wissenstandes
  - (1) Ist die Forschungsfrage noch unbeantwortet?
  - (2) Warum ist die Studie zum jetzigen Zeitpunkt gerechtfertigt?  
Welche (humanen!) Pilotdaten sind für die untersuchte Intervention im betrachteten Patientenkollektiv vorhanden?
- **Beschreibung des Studiendesigns (zusätzlich):** Power- und Fallzahlberechnung mittels statistischer Methoden
- **Machbarkeit der Rekrutierung:** Konservative Rekrutierungsabschätzung? Ggf. genügend Prüfzentren?



# Begutachtung von Skizzen zu konfirmatorischen Studien

## **Bewertung durch klinische Gutachter/innen**

- Relevanz der Fragestellung für Patientinnen und Patienten
- Einbindung von Patientenvertretungen
- Evidenz
- Ethische Aspekte
- Eignung der Kontrollintervention und der Ein- und Ausschlusskriterien
- Expertise des Teams

## **Bewertung durch Biometriker/innen**

- Studiendesign
- Hypothese
- Randomisierung
- Fallzahlkalkulation
- Analysestrategie



# Begutachtung von Skizzen zu explorativen Studien

## **Bewertung durch klinische Gutachter/innen & Biometriker/innen**

- Relevanz der Fragestellung für Patientinnen und Patienten
- Einbindung von Patientenvertretungen
- Evidenz
- Ethische Aspekte
- Eignung des Studiendesigns
- Machbarkeit
- Expertise des Teams





# Häufige Kritikpunkte von Gutachterinnen und Gutachtern an Skizzen zu konfirmatorischen Studien

- Unzureichende Evidenz
- Ungeeignetes oder zu komplexes Studiendesign
- Kein oder zu wenig erwarteter Einfluss auf den medizinischen Alltag in Deutschland
- Fehlende Einbindung von Patientinnen und Patienten in Planung und Durchführung des Projektes
- Machbarkeit nicht gegeben



**Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit.**

**Welche Fragen gibt es?**

