

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?

