



Newsletter Klinische Studien

ZKJ-Studienbüro

Veröffentlichung von Studienergebnissen unter Beteiligung des ZKJ

First year follow-up of children with chronic non-bacterial osteomyelitis – and analysis of the German National Pediatric Rheumatologic Database 2009-2018.

Reiser C, Klotsche J, Hospach T, Berendes R, Schnabel A, Jansson A, Hufnagel M, Groesch N, Niewerth M, Minden K, Girschick H (2021). Arthritis Res Ther 23:281.

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34749785](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34749785)

Safety and Effectiveness of Recombinant Human Growth Hormone in Children with Turner Syndrome: Data from the PATRO Children Study.

Backeljauw P, Kanumakala S, Loche S, Schwab K.O, Pfäffle R.W, Höybye C, Lundberg E, Battelino T, Kriström B, Giemza T, Zouater H. Horm Res Paediatr 2021; 94 (3-4): 133-143.

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34350858/](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34350858/)

Choice of basal insulin therapy is associated with weight and height development in type 1 diabetes: a multicenter analysis from the German/Austrian DPV registry in 10,338 children and adolescents.

Vollbach H, Auzanneau M, Reinehr T, Wiegand S, Schwab KO, Oeverink R, Froehlich-Reiterer E, Woelfle J, De Beaufort C, Kapellen T, Gohlke B, Holl RW. J Diabetes. 2021 13(11): 930-939. doi: 10.1111/1753-0407.13207.

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34184423/](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34184423/)

Predictors of transient congenital primary hypothyroidism: data from the German registry for congenital hypothyroidism (AQUAPE "HypoDok").

Matejek N, Tittel SR, Haberland H, Rohrer T, Busemann EM, Jorch N, Schwab KO, Wölfle J, Holl RW, Bettendorf M. Eur J Pediatr. 2021 Aug 180(8):2401-2408 doi: 10.1007/s00431-021-04031-0.

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33768331/](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33768331/)

Screening for hypophosphatasia: does biochemistry lead the way?

Held CM, Guebelin A, Krebs A, Sass JO, Wurm M, Lausch E, van der Werf-Grohmann N, Schwab KO. J Pediatr Endocrinol Metab. 2021 Sep 22. doi: 10.1515/jpem-2021-0104. Online ahead of print. PMID: 34551461

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34551461](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34551461)

[Ausführlich s. unten](#)

Glycogen storage disease type I patients with hyperlipidemia have no signs of early vascular dysfunction and premature atherosclerosis.

Schmitt J, Wurm M, Schwab KO, Spiekerkoetter U, Hannibal L, Grünert SC. Nutrition, Metabolism Cardiovascular Diseases 2021 Nov 29;31(12):3384-3392: doi.org/10.1016/j.numecd.2021.08.027

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34627694](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34627694)

Safety and effectiveness of Omnitrope® (somatropin) in PATRO Children: a multi-center, post-marketing surveillance study comparison of United States and international cohort data.

Backeljauw P, Kanumakala S, Loche S, Schwab KO, Miller BS, Levy R, McCormick K, Zouater H, Zabransky M, Campbell K. European Journal of Pediatrics. doi: 10.21203/rs.3.rs-896333/v1

[Link zum Artikel: https://www.researchsquare.com/article/rs-896333/v1](https://www.researchsquare.com/article/rs-896333/v1)

Impact of the COVID-19 Pandemic on Mental Health Outcomes of Healthy Children, Children With Special Health Care Needs and Their Caregivers - Results of a Cross-Sectional Study.

Geweniger A, Barth M, Haddad AD, Högl H, Insan S, Mund A, Langer T. Front. Pediatr., 10 February 2022.

[Link zum Artikel: https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8866820/](https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8866820/)

[Ausführlich s. unten](#)

Rubella vaccine-induced granulomas are a novel phenotype with incomplete penetrance of genetic defects in cytotoxicity.

Groß M, [Speckmann C](#), May A, Gajardo-Carrasco T, Wustrau K, Maier SL, Panning M, Huzly D, Agaimy A, Bryceson YT, Choo S, Chow CW, Dückers G, Fasth A, Freitag S, Gräwe K, Haxelmans S, Holzinger D, Hudowenz O, Hübschen JM, Khurana C, Kienle K, Klifa R, Korn K, Kutzner H, Lämmermann T, Ledig S, Lipsker D, Meeths M, Naumann-Bartsch N, Rascon J, Schänzer A, Seidl M, Tesi B, Vauloup-Fellous C, Vollmer-Kary B, Warnatz K, Wehr C, Neven B, Vargas P, Sepulveda FE, Lehmborg K, Schmitt-Graeff A, [Ehl S](#). J Allergy Clin Immunol. 2022 Jan;149(1):388-399.e4. doi: 10.1016/j.jaci.2021.05.007. Epub 2021 May 24. PMID: 34033843

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34033843/](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34033843/)

Efficacy of Sirolimus in Patients Requiring Tracheostomy for Life-Threatening Lymphatic Malformation of the Head and Neck: A Report From the European Reference Network

[Holm A](#), Te Loo M, Schultze Kool L, Salminen P, Celis V, Baselga E, Duignan S, Dvorakova V, Irvien AD, Boon LM, Vikkula M, Ghaffarpour N, [Niemeyer CM](#), [Rössler J](#), [Kapp FG](#). Front. Pediatr. 2021 Sep 30;9:697960. Doi: 10.3389/fped.2021.697960. eCollection 2021

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34660476/](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34660476/)

Übersicht der nächsten Fortbildungen für Studienmitarbeiter am Zentrum Klinische Studien (ZKS)

Grundlagen- und Aufbaukurs (früher Prüferkurs)	04.05.2022 (Grundlagenkurs, Präsenz geplant)
	05.05.2022 (Aufbaukurs, Webex)
	12.07.2022 (Grundlagenkurs, Präsenz)
	13.07.2022 (Aufbaukurs, Präsenz)
Update-Kurs GCP	28.04.2022 (Webex)
	10.05.2022 (Webex)
	24.06.2022 (Webex)
	19.07.2022 (Webex)

**Kombinierter Grundlagen-
und Aufbauergänzungskurs
MPG**

29.06.2022

**Verantwortlichkeiten eines
Studienleiters (IIT)**

05./06.07.2022

Grundlagen-, Aufbaukurs AMG und Auffrischkurs stehen auch als **reine Online-Schulungen** zur Verfügung.

Informationen dazu finden Sie auf der Seite [ONLINE-KURSE](#).

Weitere Informationen unter: <https://www.uniklinik-freiburg.de/zks/fortbildungen.html>

Neu begonnene Studien am ZKJ

Pädiatrische Hämatologie und Onkologie

4202-HEM-301: Eine adaptive, randomisierte, placebokontrollierte, doppelblinde, multizentrische Studie zur oralen Anwendung von Etavopivat, einem Pyruvatkinase-Aktivator, bei Patienten mit Sichelzellerkrankung, Ph. II/III

Sichelzellerkrankung, 18 – 65 Jahre, aktiv seit 01.03.2022

Weitere Informationen: www.clinicaltrials.gov: NCT04624659

SIOP-RTSG Randomet 2017: Randomisierte, multizentrische, offene, Phase III, Äquivalenzstudie für Patienten mit Nierentumoren des Kindesalters im Stadium IV zum Vergleich der präoperativen Chemotherapie bestehend aus Vincristin, Dactinomycin und Doxorubicin (VAD, Standardarm) mit der primären Chemotherapie bestehend aus Vincristin, Carboplatin und Etoposid (VCE, Vergleichsarm), Ph.III

Stadium IV Nierentumore im Kindesalter mit Lungenmetastasen; +/- extrapulmonale Metastasen, 0 bis 17 Jahre, aktiv seit 01.12.2021

Weitere Informationen: www.drks.de: DRKS00021160

[Link zur Homepage](#)

Ausführlich beleuchtet



Auswirkungen der COVID-19-Pandemie auf die psychische Gesundheit von Kindern und Eltern

In den vergangenen zwei Jahren haben sich eine zunehmende Anzahl an wissenschaftlichen Studien mit den indirekten Auswirkungen der COVID-19-Pandemie auf Kinder und Jugendliche beschäftigt. Lockdown-Maßnahmen und soziale Distanzierung haben Kinder und Jugendliche in vielen Lebensbereichen betroffen: Zugang zu Bildung und Sozialkontakten waren eingeschränkt, es bestand limitierter Zugang zu medizinischer Routineversorgung und häusliche Gewalt nahm zu. Die negativen Auswirkungen auf die psychische Gesundheit von Kindern und Jugendlichen konnten in zahlreichen Studien sowohl in Deutschland wie auch weltweit aufgezeigt werden.

Kinder mit chronischen Erkrankungen und Behinderungen sind dabei eine besonders vulnerable Gruppe, da sie und ihre Familien auf vielfältige Unterstützungsangebote angewiesen sind, die während der ersten Welle der COVID-19 Pandemie größtenteils eingeschränkt oder vollständig pausiert waren. Bereits vor der Pandemie gab es zahlreiche Studien, die einen Zusammenhang von niedrigem sozioökonomischem Status (Bildung, Einkommen und Beruf) und einer Beeinträchtigung der psychischen Gesundheit aufzeigen konnten.

Unsere Studie hat sich in Zusammenarbeit mit dem Kindernetzwerk e.V. mit der Frage beschäftigt, wie sich die Lockdown-Maßnahmen in der ersten Welle der Pandemie auf die psychische Gesundheit von Kindern mit und ohne chronische Erkrankungen und ihre Familien ausgewirkt haben. Zudem wurden Ungleichheiten nach Schweregrad der Erkrankung, sozioökonomischem Status und allgemeinen Belastungen durch die Pandemie untersucht.

Insgesamt 1619 Familien deutschlandweit nahmen an der Studie teil. Sowohl Kinder als auch Eltern waren in ihrem psychischen Wohlbefinden stark beeinträchtigt: 57.4% der Kinder zeigten psychische Auffälligkeiten wie emotionale oder Verhaltensprobleme. Unter den Eltern hatten 30.9% ein auffälliges Screeningergebnis für Depressionen. Zunehmender Schweregrad der chronischen Erkrankung, ein niedriger sozioökonomischer Status sowie psychische Belastung der Eltern waren mit einer höheren psychischen Belastung der Kinder assoziiert.

Die Auswirkungen der COVID-19 Pandemie auf die psychische Gesundheit zeigen sich also besonders stark in einer ohnehin schon vulnerablen Gruppe: bei Kindern mit chronischen Erkrankungen aus sozial benachteiligten und vorbelasteten Familien. Diese ungleichen Auswirkungen der Pandemie sollten von politischen Entscheidungsträgern auch nach der Pandemie berücksichtigt und Entlastungen für diese Familien geschaffen werden.

Ansprechpartner am ZKJ: Dr. Anne Geweniger, PD Dr. Thorsten Langer

Die Erniedrigung der Alkalischen Phosphatase als Screening-Parameter für die Hypophosphatasie

Die Hypophosphatasie (HPP) ist eine seltene angeborene Erkrankung des Knochen- und Mineralstoffwechsels. Ursächlich hierfür sind Loss-of-function Mutationen im ALPL Gen, welche zu einer Funktionseinschränkung der gewebeunspezifischen Alkalischen Phosphatase führen (AP). Das biochemische Korrelat ist eine erniedrigte Aktivität der AP. Bei der HPP handelt es sich um eine Multisystemerkrankung mit sehr variablem Phänotyp: Die perinatale Form manifestiert sich bereits in utero mit schwerer Skeletthypomineralisierung und hypoplastischer Lunge und verläuft zumeist letal. Patienten mit infantiler HPP zeigen zusätzlich zu den skelettalen Auffälligkeiten Vitamin-B6-sensitive Krampfanfälle sowie Hyperkalzämie und Nephrokalzinose. Die kindlichen und erwachsenen Formen der HPP zeigen sehr variable und unspezifische Symptome: Kleinwuchs, pathologische Frakturen sowie Schmerzen des Bewegungsapparates. Seit 2015 ist mit Asfotase alfa eine Enzymersatztherapie für HPP-Patienten mit Krankheitsmanifestation in der Kindheit zugelassen.

Ziel unserer Studie war es, durch ein Labordaten-Screening der gemessenen AP-Werte im Zentrallabor der Universitätsklinik Freiburg und im MVZ Labor Clotten Patienten mit leichten Verlaufsformen der HPP zu identifizieren. Als unteren Grenzwert für eine normale AP-Aktivität wurde die 3. Perzentile der alters- und geschlechtsspezifischen Referenzwerte der KiGGS-Studie zugrunde gelegt. Eine Erniedrigung der AP ist allerdings nicht spezifisch für die HPP, viele weitere Erkrankungen (Anämie, Anorexie, Hypothyreose, onkologische Erkrankungen u.a.) können ebenfalls eine AP-Erniedrigung hervorrufen. Bei Screening-positiven Patienten erfolgte nach Ausschluss anderer Grunderkrankungen eine HPP-spezifische Diagnostik in Serum und Urin. Bei Patienten mit klinischen oder laborchemischen Auffälligkeiten erfolgte die Sequenzierung des ALPL Gens. Wir konnten 3 Patienten mit heterozygoter ALPL Mutation identifizieren. Einer dieser Patienten wies einen Kleinwuchs als knöcherne Manifestation einer childhood-HPP auf und erhielt eine Enzymersatztherapie. Die zwei übrigen Patienten waren asymptomatisch und wurden als asymptomatische Mutationsträger klassifiziert. Bei der Beurteilung der Aktivität der AP sollten unbedingt alters- und geschlechtsspezifische Referenzwerte verwendet werden, um Patienten mit AP-Erniedrigung nicht zu übersehen.

Ansprechpartnerin am ZKJ: Dr. Corinna Held

Weitere Informationen: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34551461>

EPIK-P2: A Phase II double-blind study with an upfront, 16-week randomized, placebo-controlled period, to assess the efficacy, safety and pharmacokinetics of alpelisib (BYL719) in pediatric and adult patients with PIK3CA-related overgrowth spectrum (PROS), EudraCT: 2020-000561-16

In der internationalen multizentrischen EPIK-P2-Studie soll die Effektivität und Sicherheit von Alpelisib in der Behandlung von Patienten mit PIK3CA-assoziierten Überwuchssyndromen geprüft werden.

PIK3CA-assoziierte Überwuchssyndrome (PIK3CA-related overgrowth spectrum – PROS) sind seltene Erkrankungen, die sich durch Gefäßfehlbildungen (kapillär, lymphatisch, venös, selten arteriovenös) und Überwuchs präsentieren. Letzterer betrifft oft das Fettgewebe, aber auch

Bindegewebe und Muskeln, selten auch das Gehirn. Dieser Überwuchs kann im Verlauf des Lebens progredient sein und gemeinsam mit den Gefäßfehlbildungen zu Beschwerden führen. Der Phänotyp der betroffenen Patienten ist sehr individuell ausgeprägt. Bisherige Behandlungsmethoden konzentrieren sich vor allem auf die interventionell radiologische Verödung und die chirurgische Entfernung. Jedoch kommen nicht alle Patienten auf Grund der Lokalisation oder der Ausdehnung der Malformation für eine solche Therapie in Frage, auch kommt es nach Resektion oft zu einem Rezidiv, so dass medikamentöse Therapien benötigt werden.

Alpelisib ist ein PIK3CA-Inhibitor der für Patienten mit Brustkrebs entwickelt wurde und zugelassen ist. 2018 erschien eine Publikation einer französischen Arbeitsgruppe, in der ein sehr gutes Ansprechen von knapp 20 Patienten mit PROS-Erkrankungen beschrieben wurde, weitere kleinere Studien scheinen die Wirksamkeit zu bestätigen. Es liegen jedoch weiterhin keine ausreichenden wissenschaftlichen Daten vor, mit der die Wirksamkeit und Sicherheit von Alpelisib bei Patienten mit PROS-Erkrankungen gezeigt wurde. Diesbezüglich eine bessere Evidenz herbeizuführen und eine Zulassung für PROS-Patienten zu erreichen ist das Ziel der EPIK-P2-Studie.

Patienten mit klinischem Phänotyp einer PROS-Erkrankung und molekulargenetischen Nachweis einer PIK3CA-Mutation (z.B. aus einer Hautbiopsie) können ab einem Alter von 6 Jahren eingeschlossen werden. Zu den Screening-Untersuchungen gehören, neben einem Ganzkörper-MRT, unter anderem Blutuntersuchungen, eine Lungenfunktionsprüfung und eine kardiologische Untersuchung. Es werden Fragebögen zur Lebensqualität erhoben und ein sogenanntes Goal-Attainment-Scaling (GAS) durchgeführt. Mittels des GAS kann der Patient Ziele definieren, die er hofft, durch die Behandlung zu erreichen (z.B. ein besseres Greifen des Trinkglases bei Überwuchs der Hand); hierdurch wird versucht, eine Vergleichbarkeit der sehr unterschiedlich betroffenen Patienten zu erreichen. Nach Abschluss der Screeninguntersuchungen und erfolgreicher Registrierung in die Studie (u.a. nach zentralem radiologischen Review der MRT-Bilder) erfolgt eine Randomisierung, wobei 2/3 der Patienten Alpelisib und 1/3 der Patienten für 16 Wochen ein Placebo erhalten. Nach 16 Wochen erhalten alle Patienten das Verum. Die Studie läuft über insgesamt 5 Jahre und erfordert insbesondere im ersten Jahr häufige Besuche am Studienzentrum (mindestens monatlich), da unter anderem auch Daten zur Pharmakodynamik erhoben werden. Nach Vorliegen der Sicherheitsdaten zu den gewählten Dosierungen in den Gruppen der Kinder ab 6 Jahren (50 mg pro Tag) und der Erwachsenen (125 mg pro Tag; Brustkrebspatienten erhalten 250-300 mg pro Tag) wird eine weitere Gruppe für Kinder von 2-5 Jahren geöffnet werden. Sponsor der internationalen EPIK-P2-Studie ist die Novartis Pharma GmbH. In Deutschland nehmen 4 weitere Zentren (Hamburg, Düsseldorf, Leipzig, Heidelberg) teil, Freiburg nimmt die Rolle des LKP-Zentrums ein. Beginn der Rekrutierung war im Sommer 2021.

Ansprechpartner am ZKJ: Dr. Friedrich Kapp

[Weitere Informationen: www.clinicaltrials.gov: NCT04589650](http://www.clinicaltrials.gov: NCT04589650)

Medicine just for you... auf dem Weg zu einer personalisierten Kinderonkologie.

Kinder und Jugendliche mit Therapie-refraktären Tumorerkrankungen haben eine sehr schlechte Überlebensprognose. Neue Technologien zur umfassenden molekularen Charakterisierung von Tumorgewebe haben in den letzten Jahren die Möglichkeit eröffnet therapeutisch angreifbare molekulare Veränderungen individuell zu identifizieren. Bei Nachweis einer relevanten Veränderung können passende Medikamente in klinischen Studien, Compassionate-Use Programmen oder Off-label verabreicht und neue Perspektiven für die

schwer betroffenen jungen Patienten geschaffen werden. Mit der personalisierten Tumormedizin verbinden sich die größten Hoffnungen; der langfristige klinische Benefit ist bislang jedoch nicht klar belegt.

In das INFORM (INdividualized Therapy For Relapsed Malignancies in Childhood) Register der Gesellschaft für Pädiatrische Hämatologie und Onkologie werden Kinder und Jugendliche mit rezidivierten, progredienten und/ oder prognostisch extrem ungünstigen malignen Erkrankungen eingeschlossen. Es erfolgt eine umfassende molekulare Charakterisierung von frischem Tumorgewebe mittels Ganzgenom-, Exom und RNA-Sequenzierung sowie eine Methylomanalyse. Um Tumor-spezifische Veränderungen klar definieren zu können findet ein Abgleich mit Keimbahngewebe (in der Regel Blut) statt. Die therapeutische Relevanz der identifizierten molekularen Veränderungen wird interdisziplinär diskutiert, unabhängig vom Tumortyp priorisiert und 7 verschiedenen Priority Levels zugeordnet. In der Freiburger Kinderklinik wurden bislang 39 Patienten in INFORM eingeschlossen.

Tilburg et al publizierten im November 2021 die Ergebnisse von 1051 INFORM Patienten. Die häufigsten Diagnosen waren Hirntumore, Sarkome und Neuroblastome. Viele Patienten wurden erst sehr spät, also nach multiplen Rezidiven, eingeschlossen. Bei 60 von 1051 Patienten war die Materialqualität unzureichend oder die molekularen Analysen erfolglos; 65 Patienten erfüllten die Einschlusskriterien nicht. Letztendlich wurden die molekularen Analysen bei 926 Patienten komplettiert und erlaubten eine verbesserte diagnostische Einordnung der Erkrankung in 27 Fällen. Pathogene Keimbahnvarianten in Krebsprädispositionsgenen wurden bei 39 Patienten entdeckt.

Bei einer mittleren Bearbeitungszeit von 25 Tagen wurden bei insgesamt 446 (42%) Patienten therapeutisch angreifbare Zielstrukturen nachgewiesen: 147 (33%) dieser 446 Patienten erhielten eine entsprechende zielgerichtete Therapie; 17 (4%) von 446 Patienten wurden in eine klinische Studie eingeschlossen. Das Progressions-freie Überleben und Gesamtüberleben der gesamten Patientenkohorte lag bei jeweils 118 und 290 Tagen; dabei zeigten sich keine Unterschiede im Überleben abhängig davon, ob eine zielgerichtete Therapie verabreicht wurde oder nicht. In 8% aller analysierten Patienten konnten molekulare Veränderungen mit einem Priority Level „very high“ (z.B. ALK Mutationen, BRAF Mutationen, NTRK Fusionen) identifiziert werden. Für diese Patienten verlängerte sich das Progressions-freie Überleben und Gesamtüberleben statistisch signifikant auf 204 bzw. 354 Tage.

Die publizierten Daten des INFORM Registers belegen, dass eine umfassende molekulare Charakterisierung von Tumorgewebe und Interpretation der Ergebnisse mit einer Bearbeitungszeit unter 4 Wochen technisch und logistisch möglich ist. Auch wenn sich weiter größte Hoffnungen mit der personalisierten Tumormedizin verbinden, ist eine realistische Einordnung der Erfolgschancen im Gespräch mit den betroffenen Familien sehr wichtig. Fortgesetzte Bemühungen in diesem Feld werden zum Verständnis der molekularen Erkrankungsgrundlagen beitragen, die Qualität prädiktiver Biomarker verbessern und zum Erfolg zielgerichteter Therapien beitragen.

Ansprechpartnerin am ZKJ: PD Dr. Simone Hettmer

Weitere Informationen: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34373263/>

Tilburg et al, The Pediatric Precision Oncology INFORM Registry: Clinical Outcome and Benefit for Patients with Very High-Evidence Targets. Cancer Discovery, 2021.

Klinische Studien: „Wer macht was / Wie geht das ?“

Im **8. Teil** dieser Reihe stellen wir Ihnen das **Monitoring** vor.

Der Begriff „Monitoring“ bedeutet im weitesten Sinne die Überwachung von Vorgängen.

Klinische Monitore werden im Bereich von Klinischen Studien eingesetzt.

Sie stellen ein wichtiges Instrument der Qualitätskontrolle dar, zu der der Sponsor (Hauptverantwortlicher für die Studie) verpflichtet ist.

Die Hauptaufgabe klinischer Monitore besteht in der Betreuung und der Kontrolle der an der Studie beteiligten Prüfzentren (Krankenhäusern, Kliniken, Arztpraxen etc.) bzw. des dortigen Studienpersonals (Prüfärzten und Studienassistenten, ggfs. Apothekern).

Klinische Monitore reisen viel, denn sie sind in der Regel die Einzigen der an der Studie beteiligten Institutionen, die die Prüfzentren vor Ort regelmäßig besuchen. Sie führen Auswahl-, Initiierungs-, Interim- und Abschlussbesuche durch, d. h. sie helfen bei der Auswahl der Prüfzentren, führen diese in die Studie ein, betreuen diese während des Projektes und schließen die Zentren nach Ende der Studie wieder.

Monitore sollen gewährleisten, dass die Studie in den Prüfzentren in Übereinstimmung mit dem gültigen Prüfplan und den gesetzlichen Bestimmungen durchgeführt wird. Das Ziel ist, die Rechte und das Wohl der Prüfungsteilnehmer zu schützen und dass die berichteten Studiendaten korrekt, vollständig und anhand der Originalunterlagen (Patientenakten) nachprüfbar sind. Die Einsicht in die Patientenakten durch Klinische Monitore muss vorher von den Studienteilnehmern im Rahmen einer unterzeichneten Einwilligungserklärung, anhand derer die Einwilligung zur Teilnahme an der Studie erklärt wird, genehmigt worden sein. Prüfzentren müssen ausreichende fachliche, materielle und personelle Ressourcen zur Verfügung stellen, um die klinischen Studien adäquat zu betreuen.

Das Klinische Monitoring dient letztlich der Beurteilung, ob diese Voraussetzungen tatsächlich vom Prüfzentrum gewährleistet werden können. Klinische Monitore helfen während des Studienverlaufs bei der Identifizierung und Lösung von Problemen in den Prüfzentren, mit dem Ziel, dass diese zukünftig vermieden werden. In Form von Berichten informieren sie den Sponsor über die Situation vor Ort.

Klinische Monitore sind sowohl Kontrolleure, als auch Unterstützer.

Monitore müssen sich mit vielen Studienparametern wie dem Prüfplan, den zahlreichen Studiendokumenten, ggfs. der Prüfmedikation und der Datenbank gut auskennen. Sie kommunizieren mit vielen Beteiligten (Apotheken, Prüfärzten, Studienassistenten, Datenmanagern, Biometrikern, Projektmanagern, Sponsoren etc.) und müssen deshalb entsprechende Fähigkeiten mitbringen.

Außerdem helfen Klinische Monitore bei der Vorbereitung und Begleitung von Audits und Inspektionen.



Mit diesem Logo kennzeichnen wir Beiträge, die wir als besonders in für Lehrkrankenhäuser und niedergelassene Ärzte erachten.

Platzierung des Newsletters

Intranet ZKJ:

<http://intranet.ukl.uni-freiburg.de/organisation-einrichtungen/departments/zkj/mitarbeiter-infos/studienbüro/>

Internet:

<https://www.uniklinik-freiburg.de/kinderklinik/forschung-und-klinische-studien/klinische-studien-und-register/aktuelles.html>

Übersicht der laufenden Klinischen Studien am ZKJ

Intranet ZKJ:

<http://intranet.ukl.uni-freiburg.de/organisation-einrichtungen/departments/zkj/mitarbeiter-infos/studienbüro/>

Internet:

<https://www.uniklinik-freiburg.de/kinderklinik/forschung-und-klinische-studien/klinische-studien-und-register/uebersicht-klinische-studien.html>

Das Team des Studienbüros steht für Rückfragen gerne zur Verfügung !

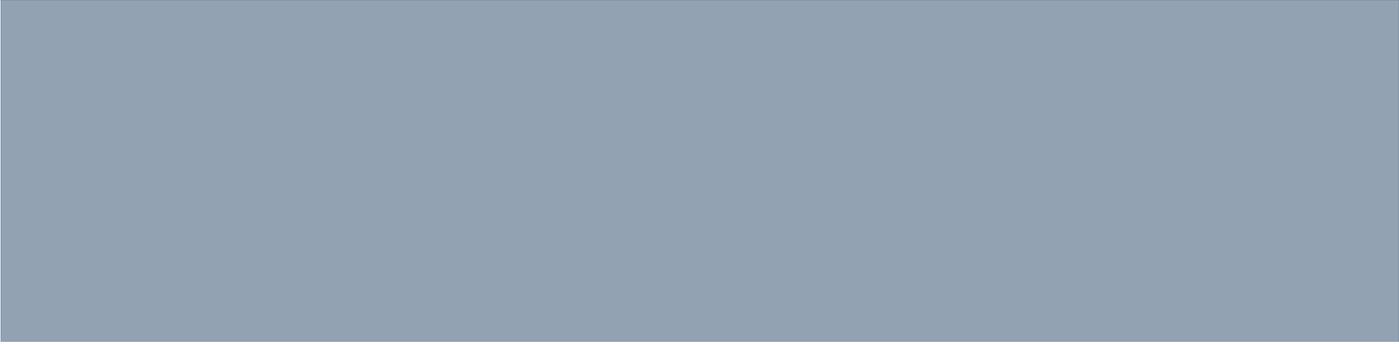


zkj.studien@uniklinik-freiburg.de

Redaktion: Susanne Grüninger, PD Dr. Simone Hettmer

Ausführliche Beiträge:

Dr. Anne Geweniger, Dr. Corinna Held, PD Dr. Simone Hettmer, Dr. Friedrich Kapp, Hans-Heinrich Otter



UNIVERSITÄTSKLINIKUM FREIBURG
Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin(ZKJ)&
Zentrum Klinische Studien (ZKS)
Pädiatrische Hämatologie und Onkologie
Studienbüro ZKJ

Susanne Grueninger
-Apothekerin-
Projektmanagement Klinische Studien

Mathildenstr. 1 - 79106 Freiburg
Telefon: 0761 270-46940
telefax: 0761-270-46990
Information: 0761 270-43000
susanne.grueninger@uniklinik-freiburg.de