



EIN LEITFADEN ZUR TEILNAHME AN KLINISCHEN STUDIEN FÜR PATIENTEN MIT NAFLD/NASH

Zweck dieses Leitfadens

Dies ist ein kurzer Leitfaden für Personen, bei denen ein Risiko für nichtalkoholische Fettlebererkrankung (nonalcoholic fatty liver disease, NAFLD) oder nichtalkoholische Steatohepatitis (NASH) besteht bzw. bei denen diese diagnostiziert wurde. Der Leitfaden soll dabei helfen, um Möglichkeiten für die klinische Forschung zu erkennen und einzuschätzen.

In diesem Leitfaden beantwortete Fragen

- Was sind NAFLD und NASH?
 - Warum wird auf diesem Gebiet geforscht?
 - Welche Fragen versuchen NASH-Forschungsstudien zu beantworten?
 - Wie kann meine Teilnahme dazu beitragen, diese Fragen zu beantworten?
 - Was sollte ich bei der Suche nach einer NASH-Studie beachten?
 - Wo kann ich mehr erfahren?
-

Was ist NAFLD/NASH?

NAFLD steht für **nichtalkoholische Fettlebererkrankung**. NASH oder nichtalkoholische Steatohepatitis ist die schwerere Form der NAFLD, die eine Ansammlung von Fett in der Leber, Entzündungen und eine Art von Verletzung namens Ballonbildung mit oder ohne Narbenbildung (Fibrose) umfasst. **NASH kann Zirrhose, Krebs oder die Notwendigkeit einer Transplantation nach sich ziehen.**

Aktuelle Schätzungen zeigen, dass eine von vier Personen bereits an NAFLD bzw. NASH leidet, aber dass diese Erkrankungen häufig nicht erkannt, zu selten diagnostiziert und zu wenig behandelt werden. Menschen mit Typ-2-Diabetes, einem BMI von über 30 und/oder im Alter von über 50 haben mit größerer Wahrscheinlichkeit NAFLD oder NASH, aber diese Erkrankung kann jeden treffen, auch normalgewichtige Menschen oder Kinder.



Warum sollte ich in Betracht ziehen, an der Forschung für NAFLD/NASH teilzunehmen?

Mit Ausnahme von **Indien** hat bisher keine Regulierungsbehörde Medikamente speziell zur Behandlung von NASH zugelassen. Ohne die Teilnahme von Patienten an klinischen Forschungsstudien, von der Konzeption der Studien über das Ausfüllen von Umfragen bis hin zur Bereitstellung biologischer Proben, gäbe es keine Möglichkeit, Medikamente, Geräte oder andere Interventionen zu entwickeln, um dieses Krankheitsspektrum zu verstehen oder zu behandeln.

Darüber hinaus benötigen Studien Freiwillige mit unterschiedlichen Merkmalen und Hintergründen, um sicherzustellen, dass die Wissenschaftler die Risiken und Ergebnisse für die verschiedenen Gruppen verstehen, die von einer bestimmten Krankheit betroffen sind. Zu den demografischen Merkmalen, die das Risiko, den Nutzen und die Behandlungsergebnisse beeinflussen können, gehören zum Beispiel die **ethnische Zugehörigkeit, Alter und Geschlecht sowie Begleiterkrankungen.**

Welche Fragen versuchen NASH-Forschungsstudien zu beantworten?

Studien werden im Allgemeinen unterteilt in **interventionelle Studien** (bei denen aktiv etwas getan wird) und **Beobachtungsstudien** (bei denen die Erkrankung über einen bestimmten Zeitraum hinweg beobachtet und überwacht wird). Beobachtungsstudien werden manchmal auch Studien zum natürlichen Krankheitsverlauf genannt.

Arten von interventionellen Studien:

MEDIKAMENTE

Solche, die Entzündungen und Fett reduzieren oder **Ballonbildung** beseitigen sollen

MEDIKAMENTE

Auswirkungen der Fettreduktion
Auswirkungen von Gewichtsverlust
Auswirkungen des Stopps oder der Abnahme der Fibrose-Aktivität
Auswirkungen einer abklingenden Entzündung

GERÄT ODER DIAGNOSTISCHE METHODEN

(z. B. solche, die die Leber einer Person mit nicht-invasiven Methoden analysieren können)

GERÄTE

Gerätebasierte Therapien als Alternative zu invasiven chirurgischen Verfahren zur Behandlung von Fettleibigkeit und Magen-Darm-Erkrankungen

Arten von Beobachtungsstudien:

Beobachtungsstudien

Solche, die untersuchen, wie sich NAFLD oder NASH im Laufe der Zeit auf Kinder auswirken

Krankheitsverlauf

Genetische und andere Risikofaktoren, die eine Progression vorhersagen

Fragen



- Kann ein bestimmtes Medikament die mit NASH verbundene Narbenbildung verringern?
- Kann ein bestimmtes Medikament bzw. eine Kombination von Medikamenten die mit NASH verbundene Entzündung reduzieren?
- Gibt es bestimmte Gene oder andere beeinflussende Faktoren, die jemanden dazu prädisponieren, schneller an NASH zu erkranken als andere Personen?
- Gibt es eine spezielle Diät, die Menschen mit NASH hilft?
- Gibt es eine Art, Dauer oder Intensität der körperlichen Betätigung, die Menschen mit NASH am meisten hilft?

Wie kann meine Teilnahme dazu beitragen, diese Fragen zu beantworten?

Derzeit verfügt nur Indien über ein speziell zur Behandlung von NASH zugelassenes Medikament. Es werden jedoch mehrere Medikamente in klinischen Studien zur Zulassung getestet. Spezifische Studienbereiche, die für die weitere Forschung wichtig sind, umfassen die Behandlung von Patienten, die sowohl NASH als auch Diabetes haben, hispanische Patienten mit bestimmten genetischen Faktoren sowie Personen, die schlank sind und NASH haben.

Studien brauchen Freiwillige mit unterschiedlichen Merkmalen und Hintergründen.

Werde ich automatisch für die Studie akzeptiert?

Zulassung und Einbeziehung in eine Studie erfolgen nicht automatisch. Studien haben sowohl **Einschlusskriterien** als auch **Ausschlusskriterien**. Außerdem wird nicht jede Person, die die Kriterien erfüllt, zu einer Studie zugelassen.

Wenden Sie sich an Ihren behandelnden Arzt bzw. Ihre Ärztin, um zu erfahren, ob eine klinische Studie für Sie in Frage kommt und ob er/sie klinische Studien vorschlagen würde, die in Ihrer Nähe verfügbar sind. Durchführungsort einer Studie kann je nach der Organisation, die die Studie durchführt, ein Krankenhaus, eine Universität, eine Arztpraxis, eine Gemeindeklinik oder ein anderer Ort sein. Auch die Länge von Studien variiert – so kann eine Studie von sechs Monaten bis hin zu fünf Jahren oder länger dauern.

Nehmen Sie sich darüber hinaus Zeit, um sorgfältig zu prüfen, ob Sie die Aktivitäten, die mit einer bestimmten NASH-Medikamenten- oder Gerätestudie verbunden sind, ausführen können. Dazu können beispielsweise Fasten, Änderungen des Lebensstils (z. B. Ernährung, Bewegung), Durchführung von Blutuntersuchungen (z. B. ALT-, AST-Werte), bildgebende Tests (z. B. Ultraschall, MRT) und sogar eine oder mehrere Biopsien gehören – ein Verfahren, bei dem Ihrem Körper eine Gewebeprobe zur weiteren Untersuchung entnommen wird.

- **Wie kann ich feststellen, ob eine bestimmte NASH-Studie für mich geeignet ist?**
- **Was sollte ich bei der Suche nach einer NASH-Studie beachten?**
- **Was kann ich erwarten, wenn ich an einer klinischen NASH-Studie teilnehme?**

Sie sollten dem Forschungsteam alle Fragen stellen, die Sie zur Teilnahme an der Studie haben, wie zum Beispiel:

- Was unterscheidet die möglichen Risiken, Nebenwirkungen und Vorteile dieser Studie von denen meiner gegenwärtigen Behandlung?
- Welchen Tests und Verfahren würde ich mich unterziehen?
- Wie lange dauert die Studie?
- Wenn ich von der Intervention profitiere, kann ich die Behandlung auch nach Ende der Studie fortführen?
- Wer übernimmt meine ärztliche Betreuung während der Studie?
- An wen muss ich mich wenden, um an dieser Studie teilzunehmen?
- Sind damit lange Anfahrtswege verbunden?



Ziehen Sie weitere Fragen in Betracht, die Sie stellen können. Mögliche Beispiele finden Sie unter anderem auf der Website der National Institutes of Health in den USA unter at <https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/learn>.

Weitere spezifische Überlegungen für die Teilnahme an einer klinischen Studie

Schwangerschaft: Die Richtlinien für Studien zu bestimmten Behandlungen können den Teilnehmern aufgrund von Sicherheitsbedenken während der Studie und für einen Zeitraum nach der Studie eine Schwangerschaft untersagen. Wenn Sie die Absicht haben, schwanger zu werden, sprechen Sie mit Ihrem Arzt darüber, wie lange Sie warten müssten, ehe eine Schwangerschaft angeraten wäre, und lassen Sie sich über Empfängnisverhütung beraten.



Urlaub: Während des Studienzeitraums können Reisen ins Ausland untersagt sein, falls die Teilnehmer regelmäßig überwacht werden müssen. Sprechen Sie zuerst mit Ihrem behandelnden Arzt über Reisepläne, bevor Sie sich für eine Studie anmelden.



Sprechen Sie mit Ihrem Arzt über Ihre Behandlung und Ihr Interesse an klinischen Studien.

Einverständniserklärung



Während des Verfahrens, das zu einer sogenannten *Einwilligung nach Aufklärung* führt, kommunizieren Forscher mit potenziellen und eingeschriebenen Teilnehmern über die Risiken und potenziellen Vorteile der Teilnahme an einer klinischen Studie, sodass mögliche Teilnehmer und diejenigen, die bereits eingeschrieben sind, fundierte Entscheidungen treffen können. Dieses Verfahren kann mehrere Aspekte umfassen, wie z. B. das Lesen von Rekrutierungsmaterialien, mündlich erteilte Anweisungen, Frage-und-Antwort-Sitzungen und weitere Gelegenheiten, Fragen zu stellen. Im Allgemeinen müssen Freiwillige vor der Anmeldung zu einer Studie eine Einverständniserklärung unterzeichnen. Dennoch können sie die Studie jederzeit verlassen, wenn sie dies wünschen.

Wie läuft eine klinische Studie ab?

Klinische Studien umfassen mehrere streng regulierte Phasen. Bevor Forscher mit einer klinischen Studie beginnen und ein Medikament an Menschen testen können, müssen sie beurteilen, ob das Medikament ernsthafte Gesundheitsschäden auslösen könnte. Um dies zu erreichen, führen sie präklinische Studien durch, entweder als **In-vitro**- oder **In-vivo**-Studien. Präklinische Studien sind in der Regel nicht sehr umfangreich angelegt.

Wenn eine klinische Studie beginnt, kann es oft mehrere Jahre dauern, bis sie abgeschlossen ist. Klinische Studien in der Biomedizin haben vier Phasen: I, II, III, and IV. In Phase II besteht das Ziel darin, die geeignete Dosis und das **Behandlungsschema** zu bestimmen. Manchmal wird die Phase II weiter in Phase 2A und 2B unterteilt. Phase 2A konzentriert sich speziell auf die Dosierung, während Phase 2B die Wirksamkeit des Medikaments dahingehend testet, wie erfolgreich es bei der Behandlung oder Vorbeugung der Krankheit ist. In Phase III werden die Teilnehmer nach dem Zufallsprinzip in Behandlungsgruppen eingeteilt, die auch als Versuchszweige bezeichnet werden. An diesem Punkt der Forschungsentwicklung wird ein NASH-Patient höchstwahrscheinlich gebeten, an einer klinischen Studie teilzunehmen, die sich derzeit in Phase 2B oder III befindet. Eine Kontrollgruppe würde die Standardbehandlung oder ein **Placebo** erhalten; die andere Gruppe würde die neue Behandlung erhalten. Studien können auch aus mehr als zwei Gruppen bestehen, wobei die zusätzlichen Gruppen dann unterschiedliche Dosierungen des neuen Medikaments erhalten.



Kann ich eine klinische Studie abbrechen oder verlassen?

Die Teilnahme an einer klinischen Studie erfolgt auf freiwilliger Basis.

Die freiwillige Teilnahme an klinischer Forschung erfordert, dass die Studienleiter alle Teilnehmer vor Beginn darüber informieren, dass sie das Recht haben, die Studie jederzeit und ohne Angabe von Gründen zu beenden. Wenn Sie eine Studie verlassen, teilen Sie dies dem Forschungsteam unbedingt mit.

Wie finde ich Studien zu NAFLD- und NASH-Behandlungen?

Europäische Union

In der Europäischen Union (EU) listet das EU Clinical Trials Register Protokoll- und Ergebnisinformationen zu interventionellen klinischen Studien auf, die in der EU und im Europäischen Wirtschaftsraum (EWR) durchgeführt werden, sowie zu klinischen Studien, die außerhalb der EU und des EWR durchgeführt werden und mit der Entwicklung der Kinderheilkunde in Europa verbunden sind. Besuchen Sie www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search, um die Datenbank zu durchsuchen.



OR



Vereinigte Staaten und weltweit

Vereinigte Staaten Die National Library of Medicine beherbergt eine Datenbank mit privat und öffentlich finanzierten klinischen Studien, die in allen 50 Bundesstaaten und in 219 Ländern durchgeführt wurden. (Beachten Sie, dass die Auflistung nicht bedeutet, dass eine Studie durch die US-Regierung evaluiert wurde). Besuchen Sie www.ClinicalTrials.gov, um Studien zu finden.

Auf der Website können Besucher die Liste der Studien filtern nach

Rekrutierungsstatus

(z. B. „Rekrutierung“, „Anmeldung per Einladung“ oder „abgeschlossen“)

Eignungskriterien

(z. B. Alter und Geschlecht)

Schlüsselwörtern

(z. B. Fettleber, NAFLD, NASH)

Studienart

(z. B. interventionelle [klinische Studie] oder Beobachtungsstudie)

Studienergebnisse

Studienphase

Art der Förderung

(z. B. Industrie, akademische Forschungseinrichtung oder Einzelperson)

Ort

(z. B. Land, Bundesland, Stadt)

Registernetzwerk der Weltgesundheitsorganisation

Darüber hinaus umfasst das Registernetzwerk der Weltgesundheitsorganisation (WHO) Register aus der ganzen Welt, die für einzelne Länder spezifisch sind, wie das Australian New Zealand Clinical Trials Registry (ANZCTR), das Clinical Trials Registry – India (CTRI) und das Clinical Research Information Service (CRiS) in der Republik Korea.

Auf www.who.int/clinical-trials-registry-platform/network sind eine vollständige Liste und weitere Informationen verfügbar.



Unabhängig davon, wie Sie von einer klinischen Studie erfahren, ist es unbedingt erforderlich, dass Sie mit Ihrem behandelnden Arzt sprechen, bevor Sie daran teilnehmen.

Gibt es neben der Teilnahme an einer Studie auch andere Möglichkeiten, die Forschung zu unterstützen?

Es gibt viele Möglichkeiten, die NAFLD/NASH-Forschung und klinische Studien zu unterstützen. Patienten werden häufig in Beratungsgremien für das Design klinischer Studien aufgenommen, zur Teilnahme an Beobachtungsstudien aufgefordert und als Fürsprecher für eine bessere Finanzierung der Forschung benötigt. Werden Sie Mitglied in der Advanced Advocacy Academy des Global Liver Institute, um mehr zu erfahren und die NASH/NAFLD-Forschung zu unterstützen. Unter www.globalliver.org/advanced-advocacy-academy können Sie mehr dazu erfahren.





Glossar der Begriffe aus klinischen Studien

Im Folgenden finden Sie Begriffe, die Sie möglicherweise häufig hören, wenn Sie sich über klinische Studien informieren. Unter www.globalliver.org/liver-glossary ist ein vollständiges Glossar mit Begriffen im Zusammenhang mit der Lebergesundheit verfügbar.

BALLONBILDUNG

Eine Art von Zelldegeneration, die mit Zellschwellung und -vergrößerung einhergeht.

BIOMARKER

Messbare Substanz oder physiologische Aktivität im Körper, die als Indikator für einen stabilen Zustand, einen anomalen Zustand oder eine Krankheit dienen kann; kann verwendet werden, um festzustellen, wie gut der Körper auf neue Behandlungen anspricht.

BIOPSIE

Eine Untersuchung von Gewebe, das dem Körper entnommen wurde, um das Vorhandensein, die Ursache oder das Ausmaß einer Krankheit zu entdecken.

BLINDSTUDIE

Wenn die Teilnehmer einer klinischen Studie nicht wissen, ob sie der Gruppe, die ein Medikament erhält, oder der Kontrollgruppe angehören; es handelt sich dabei meist um eine randomisierte kontrollierte Studie. Randomisierung minimiert die Unterschiede zwischen den Behandlungsgruppen zu Beginn einer Studie; eine Blindstudie hilft, eine unterschiedliche Behandlung oder Bewertungen zu verhindern.

AUSSCHLUSSKRITERIEN

Faktoren, die eine Person an der Teilnahme hindern.

Glossar der Begriffe aus klinischen Studien

EINVERSTÄNDNISERKLÄRUNG

Das Einverständnis geben, dass etwas gemacht wird, oder zustimmen, etwas zu tun.

BILDGEBUNGSSTUDIEN

Nicht-invasive Tests, die detaillierte Bilder der Organe und Strukturen des Körpers erzeugen können. Dazu gehören Röntgenaufnahmen, Computertomographie (CT), Magnetresonanztomographie (MRT) und Ultraschall.

EINSCHLUSSKRITERIEN

Faktoren, die ein Teilnehmer erfüllen muss, wie Alter oder Geschlecht.

ETHIKKOMMISSION (INSTITUTIONAL REVIEW BOARD, IRB)

Eine Gruppe von Personen, die das Protokoll der klinischen Studie prüfen, genehmigen und überwachen. Ihre Rolle besteht darin, die Rechte und das Wohlergehen der an einer Studie teilnehmenden Personen (als *Subjekte der Humanforschung* bezeichnet) zu schützen, beispielsweise durch Überprüfung der Einverständniserklärung. Die Gruppe umfasst in der Regel Personen mit unterschiedlichem Hintergrund, einschließlich Mitglieder der örtlichen Bevölkerung, um sicherzustellen, dass die von einer Organisation durchgeführten Forschungsaktivitäten vollständig und angemessen überprüft werden. *Auch Prüfungsausschuss zum Schutz von Menschen oder Ethikkommission genannt.*

IN-VITRO

Außerhalb eines Organismus

IN-VIVO

Innerhalb eines Gesamtorganismus

PLACEBO

Eine inaktive Substanz oder Behandlung, die genauso aussieht und auf die gleiche Weise verabreicht wird wie ein aktives Medikament oder die zu untersuchende Intervention/Behandlung.

STUDIENLEITER

Die Person, die für die wissenschaftliche und technische Leitung der gesamten klinischen Studie verantwortlich ist.

VERBOTENE MEDIKAMENTE

Medikamente, die die Teilnehmer während der klinischen Studie nicht einnehmen dürfen, da sie die Studie beeinflussen könnten.

BEHANDLUNGSSCHEMA

Ein vorgeschriebener Ablauf einer medizinischen Behandlung, Lebensweise oder Diät zur Förderung oder Wiederherstellung der Gesundheit.

SCREENING

Untersuchung auf Krankheit, wenn keine Symptome vorhanden sind, in der Hoffnung, die Krankheit frühzeitig zu entdecken.

SPONSOR/STUDIENSPONSOR

Die Organisation oder Person, die die Studie initiiert und die Autorität und Kontrolle über die Studie hat.



INTERNATIONAL-NASH-DAY.COM
[#NASHDAY](https://twitter.com/NASHDAY)



 www.GlobalLiver.org
 [@GlobalLiver](https://www.facebook.com/GlobalLiver)
 [@GlobalLiver](https://twitter.com/GlobalLiver)
 [@GlobalLiverInstitute](https://www.instagram.com/GlobalLiverInstitute)
 [@GlobalLiverInstitute](https://www.linkedin.com/company/GlobalLiverInstitute)

Veröffentlicht 2022

Das **Global Liver Institute (GLI)** ist eine gemäß 501(c)(3) steuerbefreite gemeinnützige Organisation mit Hauptsitz in Washington, D.C., USA, mit Niederlassungen in den USA und Europa. Die Vision des GLI ist es, zu gewährleisten, dass die Lebergesundheit ihren Platz auf der globalen Agenda der öffentlichen Gesundheit entsprechend der Prävalenz und den Auswirkungen von Lebererkrankungen einnimmt. Die Mission von GLI besteht darin, das Leben von Einzelpersonen und Familien zu verbessern, die von Lebererkrankungen betroffen sind, indem Innovationen und Zusammenarbeit gefördert und die Skalierung optimaler Ansätze zur Beseitigung von Lebererkrankungen unterstützt werden. International NASH Day und das dazugehörige Logo sind eingetragene Warenzeichen von GLI. Weitere Informationen finden Sie unter www.GlobalLiver.org.

Dieser Inhalt soll der breiten Öffentlichkeit hilfreiche Gesundheitsinformationen zur Verfügung stellen. Er ist nicht als Ersatz für professionelle medizinische Beratung, Diagnose oder Behandlung konzipiert oder vorgesehen.

Verweise

1. National Institute of Diabetes and Digestive and Kidney Diseases. (2018, September). Clinical Trials for NAFLD & NASH. <https://www.niddk.nih.gov/health-information/liver-disease/naflid-nash/clinical-trials>
 2. Lackner, C., Gogg-Kamerer, M., Zatloukal, K., Stumptner, C., Brunt, E. M., & Denk, H. (2008). Ballooned hepatocytes in steatohepatitis: the value of keratin immunohistochemistry for diagnosis. *Journal of hepatology*, 48(5), 821–828. <https://doi.org/10.1016/j.jhep.2008.01.026>
 3. Pan, J. J., & Fallon, M. B. (2014). Gender and racial differences in nonalcoholic fatty liver disease. *World journal of hepatology*, 6(5), 274–283. <https://doi.org/10.4254/wjh.v6.i5.274>
 4. Mayo Clinic. (n.d.) Clinical Trials: Volunteering. <https://www.mayo.edu/research/clinical-trials/deciding-to-volunteer>
National Institutes of Health, U.S. National Library of Medicine. (2019, March). Learn About Clinical Studies. [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov). <https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/learn>
 5. National Institutes of Health, U.S. National Library of Medicine, [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov). (2020, December). Glossary of Common Site Terms. <https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/glossary>
 7. U.S. Food & Drug Administration. (2018, January). Step 2: Preclinical Research. <https://www.fda.gov/patients/drug-development-process/step-2-preclinical-research>
 8. National Comprehensive Cancer Network. (n.d.) Phases of clinical trials. https://www.nccn.org/patients/resources/clinical_trials/phases.aspx
 9. Cancer.net. (2019, September). Phases of Clinical Trials. <https://www.cancer.net/research-and-advocacy/clinical-trials/phases-clinical-trials>
 10. Karanicolas, P. J., Farrokhyar, F., & Bhandari, M. (2010). Practical tips for surgical research: blinding: who, what, when, why, how?. *Canadian journal of surgery. Journal canadien de chirurgie*, 53(5), 345–348. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC2947122/>
 11. National Institutes of Health, U.S. National Library of Medicine. (2020, December). Glossary of Common Site Terms. [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov). <https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/glossary>
-