

Internationaler Forscherverbund entwickelt neue Methoden zur Therapie bei seltenen Erkrankungen

Aachen, 02.09.2013 – In der EU werden Krankheiten, die durchschnittlich bei nicht mehr als fünf von 10000 Menschen auftreten, als selten bezeichnet. Weltweit sind mehr als 7000 solcher seltenen Erkrankungen registriert. Die sich daraus ergebenden Patientenkollektive, die von einer spezifischen seltenen Erkrankung betroffen sind, können sehr klein sein. So gibt es laut Orphanet (2012) eine nicht unerhebliche Zahl von Erkrankungen, die nur bei ein bis zwei Patienten (etwa Adipositas durch Prohormon-Konvertase I-Mangel) auftreten. Schätzungen zufolge leiden derzeit in der EU sechs bis acht Prozent der Bevölkerung – d.h. zwischen 27 und 36 Millionen Menschen – an 5000 bis 8000 verschiedenen seltenen Krankheiten. Informationen der Europäischen Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie zufolge, betreffen 75 Prozent der seltenen Erkrankungen Kinder, von denen 30 Prozent vor dem Erreichen des fünften Lebensjahres versterben.

Die Notwendigkeit der Evaluierung von neuen Therapieansätzen durch statistische Methoden sind aufgrund der mit den kleinen Patientenkollektiven verbundenen Rahmenbedingungen klare Grenzen gesetzt. Dies bedeutet, dass etablierte statistische Konzepte zum Nachweis der Wirksamkeit und Sicherheit von Therapien nur unzureichend gut bis gar nicht in diesen Fällen zur Anwendung kommen können. Somit besteht eine dringende Notwendigkeit nicht nur für die Entwicklung neuer Therapieansätze, sondern auch neuer statistischer Methoden zur Evaluierung der Therapieansätze. Dabei gilt es, alle möglichen Informationsquellen zu nutzen und zusammenzuführen, um den Nachweisprozess zu optimieren. An diesem Punkt setzt das IDEAL („Integrated DEsign and AnaLysis of small population group trials“) Projekt an. Der neue Ansatz basiert auf der Idee, neue Methoden zur Planung und Analyse von Klinischen Studien zu erforschen und gleichzeitig dabei verschiedenste Aspekte stärker miteinander zu verknüpfen, sodass die Effizienz Klinischer Studien zur Evaluierung von Therapien seltener Erkrankungen deutlich gesteigert werden kann.

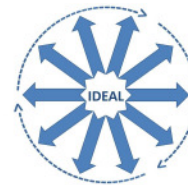
Ein internationales Forscherteam unter der Koordination von Professor Ralf-Dieter Hilgers, Leiter des Instituts für Medizinische Statistik an der Uniklinik RWTH Aachen, entwickelt gemeinsam neue Designs und differenzierte Analysemethoden zur Bewertung von Therapieansätzen bei seltenen Erkrankungen, unterstützt durch das EU Projektmanagement Office der RWTH Aachen. Die Forschungsarbeit wird im Rahmen des 7. Rahmenprogramms der Europäischen Union (FP7-HEALTH-2013-INNOVATION-1, No 602552) mit 3 Mio € gefördert.

Das Konsortium besteht neben Professor Ralf-Dieter Hilgers, Uniklinik RWTH Aachen, aus Professor Holger Dette, Ruhr Universität Bochum, Dr. Franz König, Medizinische Universität Wien, Professor France Mentré, Institut national de la Sante et de la Recherche Medicale Paris, Professor Stephen Senn, Centre de Recherche Public de la Sante Luxemburg, Professor Mats Karlson, Universität Uppsala, Uppsala, Professor Malgorzata Bogdan Polytechnika Wroclawska, Warschau, Dr. Carl-Fredrik Burman, Chalmers Tekniska Hoekskola AB, Goeteburg , Professor Geert Molenberghs, Universität Hasselt, Hasselt und Professor Christoph Male,

Medizinische Universität Wien. Die Forschungstätigkeit gliedert sich in insgesamt 11 Workpackages.

Die thematischen Schwerpunkte der Workpackages fokussieren sich auf die Beurteilung von Randomisierungsverfahren, die Extrapolation von Dosis-Wirkungs-Informationen, die Untersuchung von adaptiven Studiendesigns, die Entwicklung optimaler Versuchspläne in gemischten Modellen, sowie pharmakokinetischer und individualisierter Versuchspläne, die Simulation von klinischen Studien, die Einbindung und Identifizierung von genetischen Faktoren, die entscheidungstheoretische Betrachtungen, sowie die Evaluierung von Biomarkern.

Das IDEAL Projekt wird begleitet von einem Advisory Board internationaler Experten mit unterschiedlichem fachlichen Hintergrund, die sowohl Patienteninteressen, die Sichtweise der Industrie sowie klinische und regulatorische Gesichtspunkte vertreten. Prof. Dr. Hilgers: „Die Möglichkeit, mathematisch-statistische Methoden für die Entwicklung von Behandlung einzusetzen, für die bisher kaum valide Methoden der Therapieevaluierung zur Verfügung standen, stellt für uns alle eine besondere Herausforderung und Motivation zugleich dar. Wir alle freuen uns auf die spannende Zusammenarbeit.“



Über die Uniklinik RWTH Aachen (AöR)

Die Uniklinik RWTH Aachen verbindet als Supramaximalversorger patientenorientierte Medizin und Pflege, Lehre sowie Forschung auf internationalem Niveau. Mit 34 Fachkliniken, 25 Instituten und fünf fachübergreifenden Einheiten deckt die Uniklinik das gesamte medizinische Spektrum ab. Hervorragend qualifizierte Teams aus Ärzten, Pflegekräften und Wissenschaftlern setzen sich kompetent für die Gesundheit der Patienten ein. Die Bündelung von Krankenversorgung, Forschung und Lehre in einem Zentralgebäude bietet beste Voraussetzungen für einen intensiven interdisziplinären Austausch und eine enge klinische und wissenschaftliche Vernetzung. Rund 6.000 Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter sorgen für patientenorientierte Medizin und eine Pflege nach anerkannten Qualitätsstandards. Die Uniklinik versorgt mit 1.240 Betten rund 47.000 stationäre und 153.000 ambulante Fälle im Jahr.

Weitere Informationen bei:

Universitätsklinikum Aachen (AöR)
Prof. Dr. rer. nat. Ralf-Dieter Hilgers
Institut für Medizinische Statistik
Tel.: 0241 80-89359
mabicht@ukaachen.de

Universitätsklinikum Aachen (AöR)
Melanie End
Stabsstelle Unternehmenskommunikation
Pauwelsstraße 30
52074 Aachen
Tel.: 0241 80-85778
mend@ukaachen.de