



**Welche Fragen  
Sie stellen sollten,  
wenn Sie sich für  
eine klinische Studie  
interessieren**



## Danksagung

---

Mission MSA möchte sich in Zusammenarbeit mit ICON bei den Mitgliedern des Rare Disease Advisory Council 2020–2021 (Beirat für seltene Krankheiten) aufs herzlichste bedanken. Diesen gebührt große Anerkennung für ihr Engagement. Mission MSA ist besonders dankbar für deren Verständnis der gelebten täglichen Realität von Patienten mit seltenen Krankheiten und ihren Betreuern, ihre Expertise im Bereich der klinischen Entwicklung und die Bereitschaft, uns auf diesem Weg durch ihre großartigen Beiträge in diesen Broschüren zu begleiten.



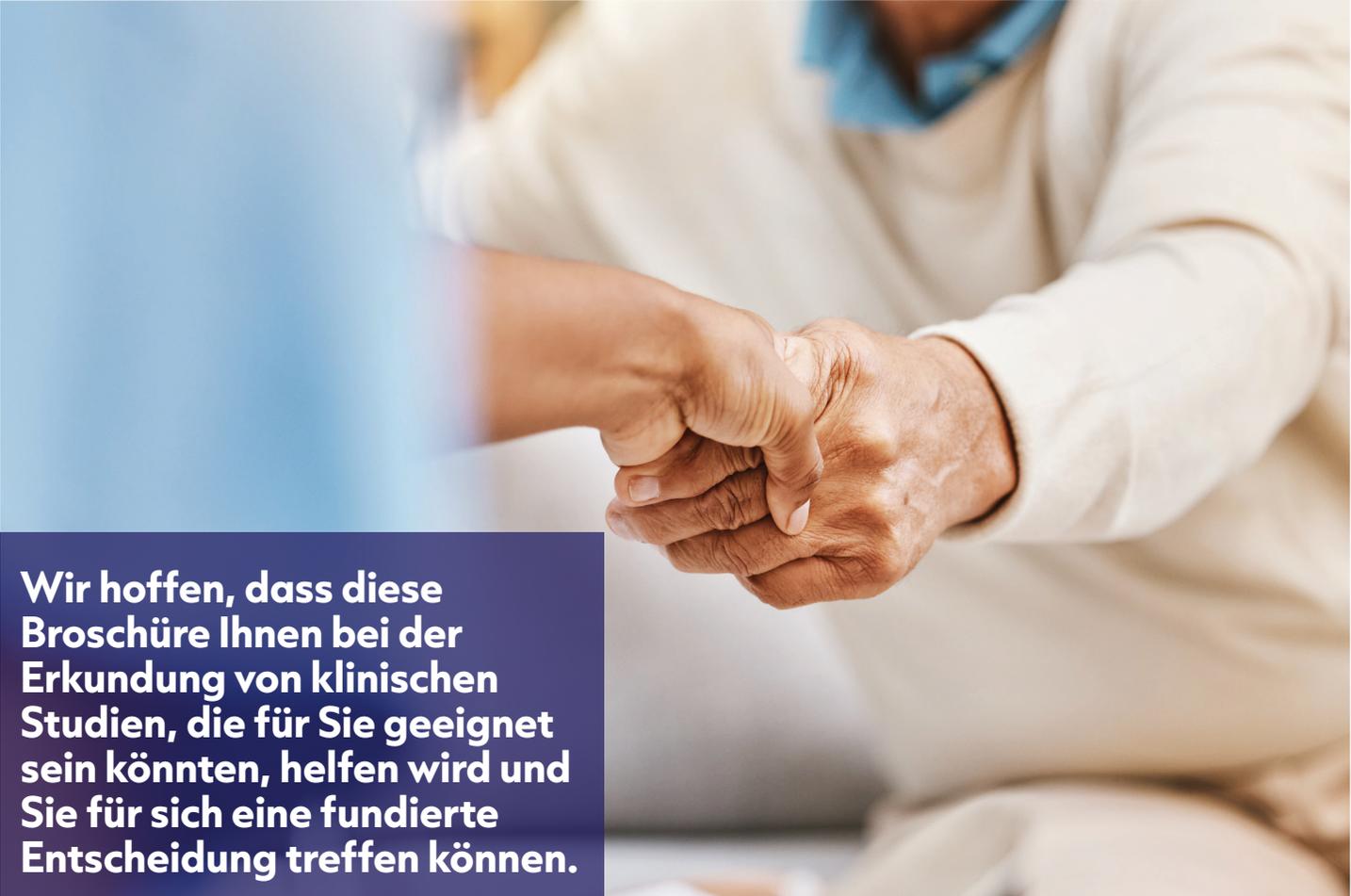
# Einführung

---

**Wahrscheinlich haben Sie gehört, dass es in Bezug auf die Teilnahme an einer klinischen Studie wichtig ist, alle Ihre Optionen abzuwägen.**

Ebenso wichtig ist es, zu überlegen, wie einfach oder schwierig sich die Teilnahme an einer solchen Studie für Sie und die Ihnen nahestehenden Personen gestaltet. Und Sie sollten sich stets fragen, was getan werden kann, um schwierige Dinge einfacher zu machen. Es kann hilfreich sein, zu wissen, welche Art von Unterstützung möglich ist, so dass Sie wissen, worum Sie bitten können.

ICON hat Pharmaunternehmen bei der Durchführung von mehr als 350 klinischen Studien zu seltenen Krankheiten unterstützt. Sie (oder eine Ihnen nahestehende Person) leiden an einer seltenen Krankheit und denken über die Teilnahme an einer klinischen Studie nach? Wir wissen, dass sich dies wie eine ganz andere Welt anfühlen kann, zumal wenn Sie noch nie mit klinischen Studien zu tun hatten.



**Wir hoffen, dass diese Broschüre Ihnen bei der Erkundung von klinischen Studien, die für Sie geeignet sein könnten, helfen wird und Sie für sich eine fundierte Entscheidung treffen können.**

## Wann Sie fragen sollten ...

### Es gibt keinen falschen Zeitpunkt, um nach dem zu fragen, was Sie brauchen.

Die beste Zeit, alle Fragen zu stellen, ist vor Beginn der Abklärungen, ob für Sie eine Teilnahme an der Studie infrage kommt. Dieser Prozess wird als Voruntersuchung oder „Screening“ bezeichnet. In der Regel ist in diesem Zeitraum Vieles zu erledigen, wie das Bereitstellen medizinischer Informationen, Kliniktermine für Tests sowie das Ausfüllen von Formularen und Beantworten von Fragen.

Sie werden erst am Ende der Voruntersuchung herausfinden, ob für Sie eine Teilnahme infrage kommt, sprich Sie für die Studie geeignet sind. Es ist wichtig, zu verstehen, dass man Ihnen im Verlauf der Voruntersuchung eine weitere Teilnahme an der Studie nicht garantieren kann. Bevor Sie an einer Voruntersuchung teilnehmen, sollten Sie sich anhand dieser Fragenliste im Gespräch mit dem Studienteam klarmachen, was für Sie mit einer Studienteilnahme alles verbunden wäre.

So können Sie herauszufinden, wie die Teilnahme an der Studie in Ihren Alltag passen würde, bevor Sie entscheiden, ob diese Studie das Richtige für Sie wäre.

### Anhand dieser Liste können Sie Fragen zu folgenden Themen stellen:

- Was Sie tun müssen, um herauszufinden, ob Sie in die Studie aufgenommen werden können.
- Wie Sie zu den Besuchsterminen im Prüfzentrum kommen.
- Welche Hilfestellung Sie bei jedem Besuchstermin erhalten.
- Die medizinischen Tests und Untersuchungen, die während der Studie vorgesehen sind.
- Was Sie während der Studienteilnahme zu Hause tun müssen.
- Was passiert, wenn die Studie endet.

## Verwendung dieser Liste

- Lesen Sie jede Frage und überlegen Sie, welche für Sie persönlich am wichtigsten sind.
- Nehmen Sie die Liste mit, wenn Sie mit einem Arzt, Koordinator, genetischem Berater oder Forscher über eine Studie sprechen, für die Sie sich interessieren.
- Stellen Sie sämtliche Fragen, die Ihnen wichtig sind. Sie können darauf vertrauen, dass alle Fragen gute Fragen sind. Ihr Gegenüber sollte sie sofort oder nach Rückfragen beantworten können. Treffen Sie erst eine Entscheidung für oder gegen die Teilnahme an einer Studie, wenn alle Ihre Fragen beantwortet worden sind.
- Wenn Dinge für Sie persönlich nicht einfach sind, fragen Sie, was getan werden kann, um sie einfacher zu machen! Lesen Sie für einige Beispiele die Spalte „Was wäre möglich...“.
- Vertrauen Sie darauf, dass Ihre Bedürfnisse wichtig sind und dass das Studienteam Ihnen die Teilnahme an der Studie ermöglichen möchte. Klinische Studien sind nur möglich, wenn sich Patienten und Betreuer für eine Teilnahme daran entscheiden.
- Benennen Sie deutlich die Dinge, die Ihnen eine Studienteilnahme erleichtern. Dem Studienteam ist möglicherweise nicht klar, was für Sie wichtig ist. Jede seltene Krankheit ist einzigartig und jede Person ist einzigartig. Sagen Sie Ihrem Gegenüber, was wie für Sie funktionieren würde.

# Was Sie tun müssen, um herauszufinden, ob Sie in die Studie aufgenommen werden können.

Fragen Sie die Person, mit der Sie über die Studie sprechen, dies kann ein Koordinator, Arzt oder Forscher sein (manchmal auch leitender Prüfartz genannt).	Wie lautete die Antwort?	Fragen Sie sich, wie beschwerlich das für Sie wäre.	Was wäre möglich? Wenn es für Sie nicht einfach ist, sagen Sie genau, was es braucht, damit es für Sie machbar ist.
<p><b>1</b> Muss ich (oder gegebenenfalls die andere Person) Medikamente, Behandlungen, oder Ergänzungsmittel für einige Wochen abbrechen, bevor die Voruntersuchung beginnen kann? (Wird auch als „Auswaschzeitraum“ bezeichnet)</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Wenn im Rahmen einer Studie bestimmte Medikamente während der Teilnahme untersagt sind, ist das in der Regel nicht flexibel. Grund hierfür könnte die Sicherheit der Teilnehmer oder die Auswirkungen bestimmter Medikamente auf die Ergebnisse der Studie sein. <b>Aber Sie können fragen</b>, ob es andere Medikamente oder Therapien gibt, die es einfacher machen können, solche Medikamente abzusetzen, die in der Studie nicht erlaubt sind. Wenn Sie eines Ihrer gewohnten Medikamente absetzen müssen, können Sie nachfragen, wie Sie zur Sicherstellung Ihres Wohlbefindens überwacht werden. Möglicherweise können Sie darum bitten, dass das Studienteam Sie öfter kontrolliert (zusätzliche Termine).</p>
<p><b>2</b> Habe ich (oder gegebenenfalls die andere Person) nur einmal die Möglichkeit, in eine bestimmte Studie aufgenommen zu werden? (Mehr als einmal an einer Voruntersuchung teilzunehmen, wird auch als „Re-Screening“ (erneutes Screening) bezeichnet und ist nicht in jeder Studie erlaubt.)</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Einige Studien bieten Patienten die Möglichkeit, mehr als einmal an der Voruntersuchung teilzunehmen; bei anderen ist dies grundsätzlich ausgeschlossen. Dies ist nicht immer offensichtlich. Bei Unklarheit ist es <b>also gut, zu fragen</b>, wie viele Male man an der Voruntersuchung teilnehmen kann. Diese Frage sollten Sie insbesondere dann stellen, wenn Sie sich nicht sicher sind, ob Sie gleich beim ersten Mal die Anforderungen erfüllen. Wenn Sie die im Rahmen der Voruntersuchung beurteilten Kriterien für eine Aufnahme nicht erfüllen und ein erneutes Screening nicht zulässig ist, können Sie den Arzt oder die Klinik nach anderen Behandlungsmöglichkeiten außerhalb der Studie fragen. Wenn es keine zusätzlichen Optionen gibt, sollten Sie um Nachbeobachtungen bitten.</p>
<p><b>3</b> Muss ich mich (oder muss gegebenenfalls die andere Person sich) im Rahmen der Voruntersuchung zur Beurteilung der Eignung für die Studie vielen medizinischen Untersuchungen und Tests unterziehen?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Sie müssen alle erforderlichen Tests zur Beurteilung Ihrer Eignung für die Studie durchführen lassen. Sollte dies für Sie ein Problem darstellen, <b>geben Sie dem Studienteam Bescheid und besprechen Sie die Gründe</b>. Wurde beispielsweise Ihr Termin zu einer für Sie schlechten Uhrzeit angesetzt? Ist es schwer zu verstehen, wie Sie einige dieser Tests oder Untersuchungen absolvieren sollen? Wenn Sie sagen, wo genau das Problem liegt, kann das Studienteam Ihre Bedürfnisse besser berücksichtigen.</p>
<p><b>4</b> Kann ich (oder gegebenenfalls die andere Person) die Ergebnisse von bereits erfolgten Untersuchungen mitbringen, so dass diese bei der Voruntersuchung nicht nochmals durchgeführt werden müssen?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>In einigen Studien ist dies im Rahmen der Voruntersuchung für bestimmte Tests oder Untersuchungen möglich. Wenn Sie sich nicht sicher sind, <b>dann fragen Sie!</b> Vor allem wenn es Tests oder Untersuchungen sind, die Sie häufiger haben und die Ihnen vielleicht unangenehm sind.</p>

# Was Sie tun müssen, um herauszufinden, ob Sie in die Studie aufgenommen werden können.

Fragen Sie die Person, mit der Sie über die Studie sprechen, dies kann ein Koordinator, Arzt oder Forscher sein (manchmal auch leitender Prüfarzt genannt).	Wie lautete die Antwort?	Fragen Sie sich, wie beschwerlich das für Sie wäre.	Was wäre möglich? Wenn es für Sie nicht einfach ist, sagen Sie genau, was es braucht, damit es für Sie machbar ist.
<p><b>5</b> Muss ich (oder gegebenenfalls die andere Person) für die Tests und Untersuchungen der Voruntersuchung in eine spezifische Klinik kommen?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>In einigen Studien dürfen die Personen einige der Tests und Untersuchungen für die Voruntersuchung in ihrer Nähe oder bei sich zu Hause durchführen lassen. Wenn es für Sie <b>einfacher ist</b>, bestimmte Untersuchungen, die eigentlich in einer Klinik erfolgen, <b>in Ihrer Nähe oder bei sich zu Hause durchführen zu lassen, dann fragen Sie, ob das möglich ist.</b></p>
<p><b>6</b> Muss ich mich (oder gegebenenfalls die andere Person sich) selber um die Durchführung irgendwelcher Untersuchungen kümmern? (z. B. Blut- oder genetischen Untersuchungen)</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>In manchen Studien ist dies erforderlich bzw. zulässig und in anderen nicht. <b>Fragen Sie</b>, in welchem Zeitraum die Tests und Untersuchungen durchzuführen sind. Wenn diese Zeit Ihrer Meinung nach zu kurz ist, dann sagen Sie das und fragen Sie, ob Sie mehr Zeit haben können. <b>Fragen Sie auch</b>, ob alle studienbedingten Untersuchungen für Sie kostenlos sind.</p>
<p><b>7</b> Verzichte ich bei einer Teilnahme auf eine gleichzeitige Teilnahme an anderen Studien oder den Erhalt bereits zugelassener Medikamente?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>In den meisten Arzneimittelstudien können die Teilnehmer nicht zeitgleich an zwei Studien teilnehmen. Manchmal bedingt die Teilnahme an einer Studie auch Einschränkungen hinsichtlich des Erhalts von Behandlungen während der Teilnahme. In vielen Fällen steht es Ihnen frei, an zukünftigen Studien teilzunehmen oder nach Beendigung Ihrer Teilnahme andere Behandlungen zu erhalten.</p> <p><b>Fragen Sie</b> das Studienteam, welche anderen Studien oder zugelassenen Behandlungen es gibt und ob die Teilnahme an der Studie Sie daran hindern könnte, aktuelle oder zukünftige Behandlungen zu erhalten.</p>
<p><b>8</b> Besteht die Möglichkeit, dass ich (oder gegebenenfalls die andere Person) anstelle des Prüfpräparats ein Placebo (Scheinmedikament) erhalte?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>In einigen Studien erhalten bestimmte Teilnehmer das Prüfpräparat und die anderen ein Scheinmedikament ohne Wirkstoff, auch Placebo genannt. Durch einen Vergleich der erhaltenen Ergebnisse kann man feststellen, ob das Prüfpräparat wirklich eine Wirkung hatte und dies den Patienten und Ärzten nicht nur so vorgekommen ist.</p> <p><b>Fragen Sie</b>, wie hoch Ihre Wahrscheinlichkeit für den Erhalt eines Placebos bei einer Teilnahme an der Studie ist. Liegt diese bei 50 % oder bei 25 %? Fragen Sie, ob es Zeiträume in der Studie gibt, in denen alle Teilnehmer das Prüfpräparat erhalten. In vielen Studien zu seltenen Krankheiten erhalten einige Teilnehmer zuerst Placebo und dann später oder nach Studienende das Prüfpräparat.</p>

# Wie Sie zu den Besuchsterminen in der Klinik kommen.

In fast allen klinischen Studien zu seltenen Krankheiten müssen die Teilnehmer für mindestens einige oder alle der erforderlichen Tests und Untersuchungen in eine Klinik kommen. Die Anzahl der Termine in der Klinik und deren Häufigkeit (täglich, wöchentlich oder monatlich) ist studienspezifisch.

Fragen Sie die Person, mit der Sie über die Studie sprechen, dies kann ein Koordinator, Arzt oder Forscher sein (manchmal auch leitender Prüfarzt genannt).	Wie lautete die Antwort?	Fragen Sie sich, wie beschwerlich das für Sie wäre.	Was wäre möglich? Wenn es für Sie nicht einfach ist, sagen Sie genau, was es braucht, damit es für Sie machbar ist.
<p><b>9</b> Muss ich (oder gegebenenfalls die andere Person) eine mehrstündige Anreise zur Klinik (dem Prüfzentrum) in Kauf nehmen?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Es gibt viele Möglichkeiten, die Anreise entspannter zu gestalten. Dies reicht von entsprechenden Buchungen durch eine Agentur, über eine Prepaid-Karte für Spesen unterwegs bis hin zu einer Person, die Sie bei der An- und Abreise begleitet. <b>Fragen Sie</b> das Studienteam, wie man Sie bei einer Teilnahme bei der An- und Abreise unterstützen kann. Teilen Sie dem Team <b>unbedingt</b> mit, ob Sie und Ihre Begleitung (Betreuer, Familie, Freund) in der Klinik eine persönliche Schutzausrüstung (Kleidung, Helme, Schutzbrille, Masken usw.) oder einen spezifischen Autositz oder ein behindertengerechtes Fahrzeug benötigen.</p>
<p><b>10</b> Muss ich (oder gegebenenfalls die andere Person) die An- und Abreise zur Klinik selbst bezahlen (z. B. Benzin, Bahnfahrkarte, Flugticket)?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Einige Studien bieten Folgendes an:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>– Ihnen werden die Kosten für die An- und Abreise zur Klinik nach Vorlage entsprechender Belege erstattet.</li> <li>– Sie erhalten für die Bezahlung von Reisekosten eine Prepaid-Karte wie diese.</li> <li>– Eine Agentur bucht für Sie die An- und Abreise im Voraus.</li> </ul> <p><b>Fragen Sie</b>, wie dies in Ihrer Studie gehandhabt wird. Wenn Sie für die Erstattung von Spesen Belege einreichen müssen, <b>fragen Sie</b>, wie schnell die Spesen erstattet werden. Teilen Sie dem Team mit, welche Vorgehensweise Sie bevorzugen.</p>
<p><b>11</b> Wird mir (oder gegebenenfalls der anderen Person) die gesamte Ausrüstung sowohl für die An- als auch die Abreise zur Verfügung stehen (Rollstuhl, Ernährungshilfen, Beatmungsgeräte usw.)?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Eine spezifische Ausrüstung, die Personen möglicherweise für die An- und Abreise zur Klinik benötigen, könnte bereitgestellt werden, wenn Sie <b>darum bitten</b>. Informieren Sie das Studienteam unbedingt über alle Geräte, die Sie benötigen, und fragen Sie, ob diese Ihnen zur Verfügung gestellt werden können.</p>
<p><b>12</b> Muss ich (oder gegebenenfalls die andere Person) für Studientermine außer Haus übernachten?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Sollten Sie übernachten müssen, können Vorkehrungen entsprechend Ihren Bedürfnissen getroffen werden. Zum Beispiel eine unterstützende Person für Sie bzw. zur Unterstützung der Sie begleitenden Person. Sie könnten in einem familienfreundlichen Hotelzimmer oder in einem Apartment (Airbnb) untergebracht werden. Einige Studien übernehmen auch die Kosten für die Betreuung von Kindern und Haustieren oder helfen Ihnen, eine entsprechende Person zu finden. <b>Erwähnen Sie Ihre</b> Bedürfnisse und Präferenzen und <b>fragen Sie</b>, ob dieser Service verfügbar ist.</p>

# Wie Sie zu den Besuchsterminen in der Klinik kommen.

In fast allen klinischen Studien zu seltenen Krankheiten müssen die Teilnehmer für mindestens einige oder alle der erforderlichen Tests und Untersuchungen in eine Klinik kommen. Die Anzahl der Termine in der Klinik und deren Häufigkeit (täglich, wöchentlich oder monatlich) ist studienspezifisch.

<b>Fragen Sie die Person, mit der Sie über die Studie sprechen, dies kann ein Koordinator, Arzt oder Forscher sein (manchmal auch leitender Prüfarzt genannt).</b>	<b>Wie lautete die Antwort?</b>	<b>Fragen Sie sich, wie beschwerlich das für Sie wäre.</b>	<b>Was wäre möglich? Wenn es für Sie nicht einfach ist, sagen Sie genau, was es braucht, damit es für Sie machbar ist.</b>
<b>13</b> Muss ich (oder gegebenenfalls die andere Person) Telefon- oder Videoanrufe entgegennehmen oder Apps benutzen? Und wenn ja, nimmt dies viele Telefonminuten bzw. Daten in Anspruch?	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	Wenn ja, kann man Ihnen möglicherweise die Kosten für die Telefonminuten und Daten erstatten. Alternativ könnte man Ihnen auch im Rahmen Ihrer Teilnahme zur Vermeidung von Kosten ein Smartphone zur Verfügung stellen.
<b>14</b> Muss ich (oder gegebenenfalls die andere Person) für Studientermine einige Tage Urlaub nehmen?	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	Die Durchführung von Tests und Untersuchungen kann häufig einige Stunden oder einen ganzen Tag bei jedem Termin dauern. Viele Menschen sind der Ansicht, dass sie sich hierfür frei nehmen müssen. <b>Fragen Sie</b> , ob Sie finanzielle Unterstützung erhalten können (Zahlung für Ihren Zeitaufwand, normalerweise ein fester Betrag für jeden absolvierten Termin).  <b>Fragen Sie</b> , ob es möglich wäre, Untersuchungen außerhalb Ihrer Arbeitszeit durchzuführen. Möglicherweise kann das Studienteam Ihre Besuchstermine so ansetzen, dass sie sich möglichst wenig auf Ihre Arbeitszeiten auswirken.

# Welche Hilfestellung Sie bei jedem Studientermin erhalten

Unabhängig davon, ob Sie für alle Termine in eine Klinik kommen müssen oder einige bei Ihnen zu Hause erfolgen können, können Sie anhand dieser Fragen herausfinden, was Sie erwartet und welche Unterstützung für Sie im Hinblick auf eine einfachere Teilnahme wichtig wäre.

	Fragen Sie die Person, mit der Sie über die Studie sprechen, dies kann ein Koordinator, Arzt oder Forscher sein (manchmal auch leitender Prüfartz genannt).	Wie lautete die Antwort?	Fragen Sie sich, wie beschwerlich das für Sie wäre.	Was wäre möglich? Wenn es für Sie nicht einfach ist, sagen Sie genau, was es braucht, damit es für Sie machbar ist.
<b>15</b> Kann uns jemand helfen, in der Klinik von einer Abteilung zur anderen zu gelangen?	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	Wenn Sie entsprechend unterstützt werden möchten, <b>fragen Sie</b> , ob die Klinik Personal hat, das Sie von einer Abteilung zur anderen begleiten kann. Dies kann für solche Personen hilfreich sein, deren Mobilität oder Sehkraft eingeschränkt ist, die ihre Kinder mitbringen oder einfach Hilfe haben möchten, sich in einer neuen Klinik zurechtzufinden.	
<b>16</b> Ist die Klinik, in die ich für die Studientermine komme, barrierefrei? (z. B. im Hinblick auf kognitive, motorische, visuelle oder Hörbedürfnisse)	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	Wenn die Klinik nicht barrierefrei ist, ist für Studientermine ggf. geeignete Unterstützung vorhanden. Sagen Sie dem Studienteam, was Ihre spezifischen Bedenken bezüglich der Barrierefreiheit sind. Diese könnten für das Studienteam nicht offensichtlich sein. <b>Fragen Sie</b> , ob Sie in der Klinik die von Ihnen benötigte Unterstützung erhalten können.	
<b>17</b> Über welche Ausstattung verfügt die Klinik, in der die Studientermine stattfinden (Steckdosen zum Aufladen von Telefonen oder Geräten, kostenloser WLAN-Zugang, Geräte für Unterhaltung während der Wartezeiten, Kühlschrank zur Aufbewahrung von Medikamenten oder Nahrungsmitteln usw.)?	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<b>Fragen Sie</b> das Studienteam, damit es Ihre Bedürfnisse kennt und Ihnen den Aufenthalt bei den Terminen in der Klinik so angenehm wie möglich gestalten kann. Scheuen Sie sich nicht, genau zu sagen, was Sie brauchen. Das Studienteam kennt Ihre persönlichen Bedürfnisse möglicherweise nicht.	

# Medizinische Tests und Untersuchungen, denen Sie während der Studie unterzogen werden

Bei den meisten klinischen Studien zu seltenen Krankheiten werden die Teilnehmer vielen medizinischen Tests und Untersuchungen unterzogen. Einige dieser Untersuchungen sind vorgesehen, um sicherzustellen, dass das Prüfpräparat für die Teilnehmer sicher ist. Andere wiederum dienen der Beurteilung der Wirksamkeit des Prüfpräparats. Welche Tests und Untersuchungen durchgeführt werden müssen, hängt von der Studie ab. Wie einfach oder schwierig die Durchführung dieser Untersuchungen für jemanden ist, hängt von der einzelnen Person und der Art der seltenen Krankheit ab. Anhand dieser Fragen können Sie herauszufinden, was Ihnen leichter oder schwerer fallen würde.

Fragen Sie die Person, mit der Sie über die Studie sprechen, dies kann ein Koordinator, Arzt oder Forscher sein (manchmal auch leitender Prüfarzt genannt).	Wie lautete die Antwort?	Fragen Sie sich, wie beschwerlich das für Sie wäre.	Was wäre möglich? Wenn es für Sie nicht einfach ist, sagen Sie genau, was es braucht, damit es für Sie machbar ist.
<b>18</b> Muss ich mich (oder muss gegebenenfalls die andere Person sich) Tests und Untersuchungen unterziehen lassen, die lange dauern oder schmerzvoll oder unangenehm sind, bspw. nichts essen und außer Wasser nichts trinken?	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	Wenn ja, <b>fragen Sie</b> , wie oft solche Maßnahmen anstehen und was getan werden könnte, damit diese für Sie angenehmer sind. Die Klinik kann es Ihnen ggf. einfacher machen. So könnte sie ggf. die Untersuchungen, für die Sie fasten müssen, direkt morgens ansetzen, tagsüber Pausen zum Ausruhen einplanen oder sicherstellen, dass Sie während der Wartezeit WLAN-Zugang haben.
<b>19</b> Sind bestimmte Untersuchungen im Anschluss mit unangenehmen Folgeerscheinung verbunden, wie Schmerzen oder Erschöpfung, und müsste ich mich entsprechend vorbereiten (bspw. Auswirkungen auf die Alltagstauglichkeit o. Ä.)?	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	Die Klinik kann es Ihnen ggf. einfacher machen. Zum Beispiel durch die Verabreichung von Medikamenten zur Linderung unangenehmer Wirkungen oder das Buchen eines Hotelzimmers, damit Sie erst am nächsten Tag die Heimreise antreten müssen. <b>Sagen Sie</b> dem Studienteam, welche Auswirkungen auf Ihren Alltag ein Problem darstellen würden, und <b>fragen Sie</b> , ob es Abhilfemöglichkeiten gibt.

# Was Sie während der Studienteilnahme zu Hause tun müssen

Die meisten klinischen Studien zu seltenen Krankheiten erfordern auch, dass Menschen einige Dinge zu Hause tun, wie die Vorbereitung und Einnahme des Prüfpräparats, das Ausfüllen von Fragebögen und die Beobachtung und Meldung von Nebenwirkungen (Veränderungen des Gesundheitszustands).

	Fragen Sie die Person, mit der Sie über die Studie sprechen, dies kann ein Koordinator, Arzt oder Forscher sein (manchmal auch leitender Prüfarzt genannt).	Wie lautete die Antwort?	Fragen Sie sich, wie beschwerlich das für Sie wäre.	Was wäre möglich? Wenn es für Sie nicht einfach ist, sagen Sie genau, was es braucht, damit es für Sie machbar ist.
<p><b>20</b> Kann uns jemand helfen, in der Klinik von einer Abteilung zur anderen zu gelangen?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Viele neue Behandlungen können schwerwiegende Nebenwirkungen verursachen oder unangenehm sein. Der medizinische Begriff dafür ist „unerwünschte Ereignisse“.</p> <p><b>Fragen Sie</b>, welche Nebenwirkungen im Zusammenhang mit dem Prüfpräparat zu erwarten sind. Da neue Medikamente vor der Weiterentwicklung in klinischen Studien mit Menschen bereits schon auf viele Arten getestet wurden, kennt das Studienteam in der Regel bereits einige der zu erwartenden Nebenwirkungen. Es können aber auch unerwartete Nebenwirkungen auftreten. Es ist auch möglich, dass die neue Behandlung bei Ihnen nicht wirkt und sich Ihre Erkrankung verschlechtert.</p> <p>Es ist wichtig, zu wissen, dass das Studienteam gesetzlich verpflichtet ist, Ihre Gesundheit zu überwachen und während der Teilnahme an der Studie Ihre Sicherheit zu gewährleisten.</p>	
<p><b>21</b> Ist die Klinik, in die ich für die Studientermine komme, barrierefrei? (z. B. im Hinblick auf kognitive, motorische, visuelle oder Hörbedürfnisse)</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Wenn Sie Bedenken hinsichtlich der Verabreichungsmethode des Medikaments haben, kann Ihnen das Studienteam Anweisungen erteilen. Sie können auch <b>fragen</b>, ob zusätzliche Hilfsmittel verfügbar sind. Einige klinische Studien stellen beispielsweise schriftliche Anweisungen, Bilder oder Videos bereit. Nicht alle klinischen Studien bieten die gleichen Hilfsmittel an. Es ist wichtig, alle verfügbaren Ressourcen in Anspruch zu nehmen, die man für hilfreich hält.</p>	
<p><b>22</b> Über welche Ausstattung verfügt die Klinik, in der die Studientermine stattfinden (Steckdosen zum Aufladen von Telefonen oder Geräten, kostenloser WLAN-Zugang, Geräte für Unterhaltung während der Wartezeiten, Kühlschrank zur Aufbewahrung von Medikamenten oder Nahrungsmitteln usw.)?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Die meiste Ausrüstung kann zur Verfügung gestellt werden, wenn Sie diese für die Vorbereitung des Prüfpräparats vor der Einnahme benötigen. <b>Bitten Sie</b> das Studienteam, Ihnen zu sagen, welche Ausrüstung benötigt wird und wie man Ihnen diese zukommen lässt.</p>	

# Was passiert, wenn die Studie endet?

Fragen Sie die Person, mit der Sie über die Studie sprechen, dies kann ein Koordinator, Arzt oder Forscher sein (manchmal auch leitender Prüfartz genannt).	Wie lautete die Antwort?	Fragen Sie sich, wie beschwerlich das für Sie wäre.	Was wäre möglich? Wenn es für Sie nicht einfach ist, sagen Sie genau, was es braucht, damit es für Sie machbar ist.
<p><b>23</b> Muss ich auf unangenehme oder gefährliche Nebenwirkungen achten und diese melden?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Bei einigen (nicht allen) Studien besteht die Möglichkeit, die Einnahme des Prüfpräparats nach dem Ende der Studie fortzusetzen. Studien können Patienten die weitere Einnahme des Prüfpräparats durch folgende Maßnahmen ermöglichen:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>– Überstellung von Patienten an ein Zugangs-Programm</li> <li>– Wechsel der Teilnehmer in eine Langzeit-Nachbeobachtungsstudie</li> <li>– Vorrangige Aufnahme in eine der nächsten klinischen Studien zum Prüfpräparat</li> </ul> <p><b>Fragen Sie</b> das Studienteam, ob Ihnen bei einer Teilnahme an der Studie eine dieser Möglichkeiten angeboten wird.</p>
<p><b>24</b> Muss ich (oder gegebenenfalls die andere Person) das Prüfpräparat zu Hause vorbereiten und einnehmen (selbst mischen, abmessen, injizieren)?</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Einige Studien händigen den Teilnehmern eine laienverständliche Zusammenfassung der Ergebnisse der Studie aus. Bei anderen gibt es das nicht. Falls es für Sie wichtig ist, <b>fragen Sie</b>, ob und wie Sie eine Zusammenfassung erhalten können.</p>
<p><b>25</b> Muss ich (oder gegebenenfalls die andere Person) für die Vorbereitung und Einnahme des Prüfpräparats zu Hause spezifische Voraussetzungen haben (Platz im Kühlschrank, Waage, Taschenrechner o. Ä.)</p>	<input type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Nein <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<input type="checkbox"/> Einfach <input type="checkbox"/> Schwer <input type="checkbox"/> Unmöglich <input type="checkbox"/> Nicht sicher	<p>Viele, aber nicht alle klinische Studien ermöglichen es Personen, Einblick in Ihre Studienunterlagen zu nehmen. In einigen Fällen ist dies erst nach dem offiziellen Ende der Studie bzw. nach dem individuellen Studienabschluss möglich. <b>Fragen Sie</b> das Studienteam, ob man Sie über die Ergebnisse von studienspezifischen Tests und Untersuchungen informieren wird. Fragen Sie <b>unbedingt</b>, wann und in welcher Form man Ihnen diese Ergebnisse mitteilen würde.</p>

## Ein besonderes Dankeschön an ICON und die Mitglieder des RDAC 2020-2021 (Rare Disease Advisory Council):

### **Luke Rosen**

Gründer von KIF1A.org,  
VP Patient Engagement &  
Government Affairs,  
Ovid Therapeutics

### **Maureen McArthur Hart**

Vorstandsmitglied, Cure VCP;  
Mitglied des Scientific Advisory  
Council, Uplifting Athletes ([www.upliftingathletes.org/](http://www.upliftingathletes.org/))

### **Kyle Brant**

Gründer & Leiter von Ride ATAXIA  
Sprecher für FARA

### **Amy Price**

Leiterin Client Services, VOZ  
advisors und Metachromatic  
Leukodystrophy Parent Advocate

### **Kyle Brant**

Gründer & Leiter von Ride ATAXIA  
Sprecher für FARA

### **Andra Stratton**

Program Associate, Rare As One  
bei Chan Zuckerberg Initiative  
& Präsident & Kogründer  
Lipodystrophy United

### **Tracy Dixon-Salazar, PhD**

Geschäftsführerin der LGS  
Foundation

### **Terry Jo Bichell**

Gründerin und Direktorin von  
COMBINEDBrain





# MISSION MSA

Leading the charge to cure  
Multiple System Atrophy

## Werden Sie Teil der MSA-Gemeinschaft!



### Kontakt

#### Telefonische

Unterstützung: +1 866.737.5999

Telefon-Nr. des Büros: +1 866.737.4999

E-Mail: [info@missionmsa.org](mailto:info@missionmsa.org)

#### Postanschrift:

1660 International Drive, Suite 600  
McLean, VA 22102, USA



Besuchen Sie uns auf  
[www.missionmsa.org](http://www.missionmsa.org)