



Symposium
“ Klinische Studien in der Neurologie ”
Degenerative Erkrankungen

- Sicht der Industrie -

Dr. Wilhelm Fischer
Sanofi-Aventis Deutschland GmbH
Berlin



Sind klinische Studien bei Patienten mit neurodegenerativen Erkrankungen in Deutschland überhaupt möglich?

- Industrie: Ressourcen
- verfügbares Patientenkollektiv



Neurodegenerative Erkrankungen

- **Amyotrophe Lateralsklerose (ALS)**

ca. 5000 Patienten in D

- **Morbus Huntington (HD)**

ca. 7.000 – 8.000 Patienten in D

- **Parkinson Plus Syndrome**

MSA und PSP

ca. 5.000 Patienten in D pro Indikation

Auf Grund dieser Patientenzahlen sind lediglich multinationale Studien in Europa oder weltweit möglich.



Durchgeführte Studien mit Riluzol

- **ALS:**

- 2 Studien: 1 europäische mit 155 Patienten (Phase II)

- 1 europäische/nordamerikanische mit 959 Patienten (Phase III)

- **HD:**

- 1 europäische Studie mit 537 Patienten (Phase III)

- ⇒ 120 Patienten aus D > Behandlungszeit 36 Monate

- **MSA/PSP:**

- 1 europäische Studie mit 767 Patienten (Phase III)

- ⇒ 243 Patienten aus D > Behandlungszeit 36 Monate



Annehmbare Rekrutierungszeit in D durch hohe Patientenakzeptanz

- **ALS:** **6 Monate**
- **HD:** **12 Monate**
- **MSA/PSP:** **18 Monate**



Primäre Endpunkte und Ergebnisse der Studien

- **ALS:**

- Tod
- Riluzol steigerte die Überlebensrate im Vergleich zu Placebo
- Neuroprotektiver Effekt
- Zulassung 1996

- **HD:**

- Verlangsamung der Krankheitsprogression anhand des Motor Scores und Total Functional Capacity der UHDRS
- Riluzol zeigte keinen Effekt im Vergleich zu Placebo

- **MSA/PSP:**

- Tod
- Ergebnisse werden im Q1/2006 erwartet



Problem des primären Endpunkts

- rasch progressive Erkrankungen:

- Tod

- langsam progressive Erkrankungen:

- Skalen, subjektive Meßinstrumente
- fehlende, objektive Meßinstrumente ins. Laborparameter, Biomarker (die mit dem klinischen Verlauf korrelieren)
- Zeitfaktor ⇒ Studiendauer
- HD-Studie insgesamt **5** Jahre
- ALS-Studie insgesamt **2,5** Jahre



Resources der Industrie

- **Investition in Indikationen mit kleinen Patientenpopulationen**
- **Dauer der Studien 3 bis 5 Jahre**
- **hohes Risiko für Mißerfolg, weil Phase II und III meistens kombiniert wird**
- **Engagement für große Unternehmen primär gering, hohe Investitionen mit begrenzter Umsatzerwartung**



Was muß sich ändern, um das Engagement zu erhöhen?

- von Seiten der Medizin:

- Forschung auf dem Gebiet von Biomarkern
- Ziel: Wirksamkeitsnachweis mit Hilfe kürzerer Studien

- neue Finanzierungsmodelle:

- Industrie zusammen mit anderen Institutionen z. B. EU
- Beispiel: NNIPPS-Studie
Finanzierung EU 70% und Sanofi-Aventis 30%



Zusammenfassung

Studien bei neurodegenerativen Erkrankungen sind in Deutschland von Seiten der Industrie grundsätzlich möglich.

Um die Situation zu optimieren sind notwendig:

- validere Wirksamkeitsparameter
- gemeinsame Finanzierung mit anderen Institutionen