

**1. Wie sind die Patienten/Probanden oder deren Angehörige auf Studien aufmerksam geworden?**

*Über MPS-Selbsthilfegruppe (Rundbrief, Internet etc.), über die Klinik (in Deutschland Universitätsklinikum Mainz/Kinderklinik [Dr. Michael Beck])*

**2. Wie wurden Patienten/Probanden für die Teilnahme an medizinischen Forschungsvorhaben gewonnen?**

*In der Regel warten die Patienten oder deren Eltern schon seit langer Zeit darauf, dass endlich ein Medikament auf den Markt kommt; es ist oft eher die Frage, wie erklärt man den Patienten, dass sie nicht an der Studie teilnehmen dürfen.*

*Oft ist es der einzige Strohalm für die Familien bzw. Betroffenen!*

**3. Aus welchen Beweggründen wurde einer Teilnahme zugestimmt?**

*Die Patienten haben nichts zu verlieren, nur zu gewinnen. Da es sich bei MPS um eine progressive Erkrankung handelt und viele der im Laufe der Zeit eintretenden Schädigungen irreversibel sind, möchte jeder Patient so schnell wie möglich mit der Medikation beginnen.*

**4. Welche Risiken sind die Patienten/Probanden bereit zu tragen?**

*Keine Risiko kann so groß sein wie die Krankheit selbst!!!*

**5. Wie fühlen sich Patienten/Probanden über den Ablauf, die Bedeutung, etwaige Belastungen, den Nutzen sowie die Risiken und die Tragweite der geplanten Untersuchungen informiert?**

*Sehr gut informiert: extra Broschüren für Erwachsene und Kinder; viele sehr offene Gespräche über alle mögliche Belastungen*

**6. Inwieweit wurden Patienten/Probanden über ihre rechtliche Situation aufgeklärt?**

*Sehr gute Aufklärung darüber: was kann passieren, welche Rechte haben die Betroffenen, wer übernimmt z.B. Zahlung der Behandlung bei nicht absehbaren Nebenwirkungen, Möglichkeit jederzeit auszusteigen etc.*

**7. Wurde während der Aufklärung Wert darauf gelegt, dass die Patienten/Probanden den Inhalt der Studie verstehen? Hat die Aufklärung die individuelle Entscheidung hinsichtlich der Studienteilnahme beeinflusst?**

*Ja, darauf wurde bei der Aufklärung großer Wert gelegt. - Nein, keine Beeinflussung: erstens fand ein Grossteil der Aufklärung schon vorher statt und zweitens wollte man auf jeden Fall teilnehmen.*

[Anm. MPS-Gesellschaft: bis die Studien hier in Deutschland laufen, hat meist schon eine erste Studienphase in den USA (die für MPS in Frage kommenden Pharmafirmen- BioMarin, Genzyme, TKT - haben alle ihren Sitz in den USA) stattgefunden; so sind bereits erste Ergebnisse bekannt, über die die Betroffenen informiert werden.]

**8. Inwieweit wurden Patienten/Probanden über das Ziel der Studie, beispielsweise über den Sinn von Placebo-Gaben oder einen möglichen Nutzen für die eigene Gesundheit informiert?**

*Sehr gute Aufklärung: warum Placebo etc.*

**9. Inwieweit wurde der Wille von Minderjährigen berücksichtigt?**

*Eigentlich immer, wenn die Patienten keine geistige Behinderung haben, die ihnen eigenes Entscheiden unmöglich macht.*

**10. Wünschen sich Patienten/Probanden eine weitergehende Beratung, möglicherweise durch Personen, die nicht direkt an der Studie mitwirken?**

*Nein, mit Beratung durch Klinik und MPS-Gesellschaft fühlt man sich ausreichend informiert.*

11. Wo sind nach Einschätzung der Patienten/Probanden das Recht auf körperlich/psychische Integrität berührt, wo Selbstbestimmungs- und Persönlichkeitsrechte?

*Akzeptanz da gewollt; was schwierig ist, ist dass bei Placebo-Patienten zunächst nichts passiert. Diese Zeit zu überbrücken ist schwer, da den Patienten die Zeit wegrennt.*



Gesellschaft für Mukopolysaccharidosen e.V.  
Rupert-Mayer-Str. 13  
63741 Aschaffenburg

Tel.: 06021-858373

Fax: 06021-858372

E-Mail: [info@mps-ev.de](mailto:info@mps-ev.de)

Internet:[www.mps-ev.de](http://www.mps-ev.de)