



Zentrum Kinderheilkunde und Jugendmedizin

Pädiatrie I mit Schwerpunkt Hämatologie/Onkologie, Direktor Prof. Dr. Lothar Schweigener
Pädiatrie II mit Schwerpunkt Neuropädiatrie, Direktorin Prof. Dr. Jutta Gärtner
Pädiatrie III mit Schwerpunkt Kardiologie und Intensivmedizin, Direktor Prof. Dr. Thomas Paul
Bereich Humanmedizin • Postfach 3742/43 • D-37070 Göttingen
Pädiatrie n. 37099 Göttingen

Sekretariat der Enquete-Kommission „Ethik
und Recht der modernen Medizin Platz der
Republik 1

11011 Berlin

37099 Göttingen
Hausadresse: Robert-Koch-
Str.40

37075 Göttingen
P ä d i a t r i e II
Schwerpunkt Neuropädiatrie
Direktorin:
Prof. Dr. Jutta Gärtner

Telefon: (+49) 0551 39 8035
Telefax: (+49) 0551 396252
E-Mail: paediatric2@med.uni-
goettingen.de www.mi.med.uni-
goettingen.de/paediati

Az: Gä-See 05.07.2004

Öffentliche Anhörung am 25. Oktober 2004 in Berlin

Erfahrungen von Probanden und Patienten als Teilnehmer an klinischen Studien

Sehr geehrte Damen und Herren,

Herr Dr. Frank Wissing, Referent der Deutschen Forschungsgemeinschaft, hat mir den Fragenkatalog zu o. g. Anhörung der Enquete-Kommission des Bundestages „Ethik und Recht der modernen Medizin“ zukommen lassen und mich gebeten, als grundlagenwissenschaftlich und klinisch tätige Wissenschaftlerin eine Stellungnahme hierzu abzugeben, damit die Ausgewogenheit der Interessen bei einer solchen Anhörung gewahrt bleiben.

Ich selbst bin Kinderärztin und leite seit Dezember 2002 die Abteilung Pädiatrie II, Kinderheilkunde mit Schwerpunkt Neuropädiatrie, des Universitätsklinikums Göttingen. Von 1988 bis 1993 war ich als wissenschaftliche Mitarbeiterin in der Abteilung für Pädiatrie und Menschliche Genetik am Johns Hopkins Krankenhaus in Baltimore, (USA) tätig. Von 1993 bis 2002 habe ich als wissenschaftliche Mitarbeiterin und seit 1999 als Hochschullehrerin im Zentrum Kinderheilkunde und Jugendmedizin der Universitätsklinikums Düsseldorf gearbeitet. Mein wissenschaftlicher Schwerpunkt liegt in der Erforschung der primären Ursache von neurometabolischen Krankheiten mit Manifestation im Kindesalter. Ich habe hierzu in der Vergangenheit Krankheitsgene identifiziert, diese Gene und ihre Genprodukte molekular und zellbiologisch näher charakterisiert und mögliche Therapieansätze etabliert. Für meine Forschungsarbeiten habe ich persönliche und klinische Daten von betroffenen Patienten und deren Angehörige rekrutiert und auch das für die Experimente notwendige Patientenmaterial (Blut, Liquor, Biopsie- und Autopsiematerial). Klinische Studien, in denen die Wirksamkeit und Nebenwirkungen von Medikamenten geprüft werden, habe ich bislang nicht durchgeführt und verfüge hierzu über keinerlei Erfahrungen.

Im Folgenden finden Sie meine Stellungnahmen zu den von der Enquete-Kommission für die o. g. Anhörung ausgearbeiteten Fragen. Diese Stellungnahmen beziehen sich auf unsere Studien „Molekulare und klinische Charakterisierung von Patienten mit peroxisomalen Erkrankungen“, „Klinische und laborchemische Charakterisierung sowie Erstellung einer Datenbank für Patienten mit Multipler Sklerose vor dem 16. Geburtstag“ und „Klinische und molekulare Charakterisierung von Patienten mit ungeklärten Leukodystrophien (BMBF-Netzwerk)“.

Vorstand:

Prof. Dr. Manfred Droese - Ressort Forschung und Lehre, Sprecher des Vorstandes
Prof. Dr. Jekabs U. Leititis - Ressort Krankenversorgung
Dipl.-Kfm. Klaus Fischer - Ressort Wirtschaftsführung und Administration

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

Die Mehrzahl der betroffenen Eltern, und im Bereich der Kinderheilkunde weniger die Patienten selbst, wurden durch den das Kind betreuenden Kinderarzt auf unsere Forschungsschwerpunkte zu Stoffwechselkrankheiten, Leukodystrophien und Multiple Sklerose aufmerksam gemacht. Ein Teil der Eltern nahm direkt Kontakt zu uns auf, nachdem sie im Internet zu unseren Studien gelesen hatten oder aber über Selbsthilfegruppen von unseren Aktivitäten erfahren hatten.

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

Die Mitarbeiter meiner Forschungsprojekte und auch ich haben Fachkollegen, d. h. Kinderärzte in eigener Praxis, an Krankenhäusern und Universitätskliniken über geplante Studien durch die direkte Zusendung von Informationsmaterial oder aber durch Mitteilungen in Organen der Fachgesellschaften informiert. Im Verlauf der Studien erfolgten bzw. erfolgen regelmäßige Vorträge zum Stand der Forschung und den Ergebnissen auf entsprechenden Fachkongressen und auch auf Patientenforen, die in der Regel von Selbsthilfegruppen organisiert wurden. Die Teilnahme und das Einschleusen von Material konnten zu jeder Zeit erfolgen, da es sich um fortlaufende Forschungsprojekte handelt.

Zu 3. Aus welchen Beweggründen wurde einer Teilnahme zugestimmt?

Der wichtigste Beweggrund war in der Regel, die bei einem Kind mit Entwicklungsauffälligkeiten vorliegende Krankheit zu diagnostizieren und damit Informationen zum Krankheitsverlauf und zu Behandlungsmöglichkeiten zu erhalten. Nach Diagnosestellung und Vorliegen einer Krankheit mit nur sehr geringer Lebenserwartung waren die Beweggründe, das Forschungsvorhaben weiterhin zu unterstützen häufig der bei den Eltern bestehende Wunsch nach weiteren Kindern und/oder zukünftig anderen betroffenen Kindern und Familien mit vergleichbaren Krankheiten helfen zu wollen.

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

Patienten, die an den in unseren Forschungsschwerpunkten behandelten Krankheiten leiden, weisen in der Regel eine schwere körperliche und häufig auch geistige Behinderung auf. Die mit der Teilnahme an Forschungsvorhaben für den Patienten verbundenen Risiken und der dagegen stehende mögliche Nutzen wurden daher in der Regel von den Eltern beurteilt. Für unsere Studien war es notwendig, Patientenmaterial zu erhalten. Das Risiko für die Patienten war daher abhängig von der Art des benötigten Materials. Da die Gewinnung von Blut- und Liquorproben relativ risikoarm ist, war die Mehrzahl der Eltern bereit, dieses zu tragen. Im Gegensatz hierzu erfolgte die Gewinnung von Gewebeproben, wie Haut, Muskel und Nerv, in der Regel im Rahmen von Operationen, die aufgrund der Grunderkrankung oder aber durch andere Erkrankungen des Kindes ohnehin notwendig geworden waren. In Einzelfällen waren die Eltern auch bereit, ein Narkoserisiko für die Gewinnung von Gewebeproben zu tragen, wenn eine Diagnose nur durch eine Gewebeuntersuchung im Rahmen der Studie und nicht durch die Bestimmung von Markern in anderen Körperflüssigkeiten wie Blut und Liquor gestellt werden konnte.

Zu 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?

Dieser Punkt ist nur sehr schwer von den die Forschungsvorhaben durchführenden Wissenschaftlern zu beantworten und müsste sich in unserem Fall am ehesten an die betroffenen Eltern wenden. Aus meiner Erfahrung heraus möchte ich jedoch anmerken, dass sich Eltern in der Regel sehr gut zu diesen Punkten informieren, teilweise auch mehrmals über Hausärzte, Angehörige oder andere Vertrauenspersonen zu noch für sie ungeklärten Details nachfragen lassen und erst dann der Teilnahme ihres Kindes an der Studie zustimmen.

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

Wir haben für unsere Forschungsvorhaben, in denen menschliches Material für die experimentellen Arbeiten und die Dokumentation von Patientendaten notwendig sind, entsprechende Aufklärungsbögen erarbeitet. Aus diesen geht auch die rechtliche Situation hervor, wie beispielsweise, dass die Teilnahme jederzeit unterbrochen und die entsprechenden Daten vernichtet werden können. Wir

beziehen das entsprechende Material und die Daten erst dann in unsere Studien ein, wenn eine Zustimmung der Eltern erfolgt ist und die entsprechenden Einwilligungsbögen unterschrieben sind.

Zu 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?

Die Eltern haben in der Regel der Teilnahme ihres Kindes an einer Studie erst dann zugestimmt, wenn sie den Inhalt der Studie im Rahmen ihrer Möglichkeiten auch verstanden hatten. Es erfolgt im Rahmen unserer Studien immer eine individuelle Aufklärung, entweder durch ärztliche Mitarbeiter der eigenen Abteilung oder aber über wohnortnahe Kinderärzte, die zur Studie umfassend informiert sind. Die individuelle Aufklärung hat in der Vergangenheit häufig dazu geführt, dass Eltern, die zu nächst einer Teilnahme eher kritisch und ablehnend gegenüber standen, nach Diskussion ihrer Kritikpunkte einer Teilnahme zugestimmt haben.

Zu 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?

Placebo-Gaben sind nicht Teil unserer Studien. Über den möglichen Nutzen für die eigene Gesundheit und für die Gesundheit des betroffenen Kindes oder auch von Geschwisterkindern haben wir stets informiert. In unseren Studien stand häufig die Identifizierung von möglichen Krankheitsgenen im Vordergrund. Die Eltern wurden informiert, dass, wenn ein Krankheitsgen bei ihrem betroffenen Kind identifiziert wird, sie möglicherweise Träger dieses Gens sind und dass auch ihre anderen, gesund erscheinenden Kinder möglicherweise Genträger sein können. Derartige Informationsgespräche führen wir gemeinsam mit Kollegen der Humangenetik durch.

Zu 9. Inwieweit wurde der Wille von Minderjährigen berücksichtigt?

Wir versuchen, die betroffenen Kinder, wenn sie aufgrund ihrer geistigen Fähigkeiten und ihres Alters dazu in der Lage sind, in die Aufklärung für die Studien einzubeziehen und ihren Willen zu berücksichtigen. Neben dem Aufklärungsbogen für Eltern enthält unser Studienmaterial auch einen Aufklärungsbogen für Kinder.

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

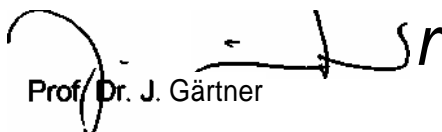
Wir haben die betroffenen Familien stets darauf hingewiesen, dass sie sich bezüglich der Studie auch mit anderen ihr Kind betreuenden Ärzten, einer Psychologin oder mit anderen Eltern, deren Kinder an der gleichen oder einer vergleichbaren Krankheit leiden und nicht an der Studie mitwirken, beraten können. Das Angebot der weitergehenden Beratung wurde nur sehr selten wahrgenommen. In der Regel wünschen die Eltern eine Beratung und Betreuung durch diejenigen Ärzte, die unmittelbar in die Studien involviert sind.

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

Auch dieser Punkt kann nicht von den die Forschungsarbeiten durchführenden Wissenschaftlern beantwortet werden. Ich denke jedoch, dass wenn Patientenmaterial für Forschungsprojekte nach entsprechender Aufklärung und Einwilligung durch Eltern bzw. Patienten zur Verfügung gestellt wurde, das Recht auf körperliche/psychische Integrität und auch die Selbstbestimmungs- und Persönlichkeitsrechte in einem der Studie angemessenen Maß berücksichtigt wurden.

Ich hoffe, dass ich Ihnen mit meinen Stellungnahmen weitergeholfen habe und stehe Ihnen für weitere Rückfragen zur Verfügung.

Mit freundlichen Grüßen


Prof. Dr. J. Gärtner