2019/
Jahresbericht

Clinical Trials Network

www.ecfs.eu/ctn
ecfs-ctn@uzleuven.be
Tel : +32-479 983839

Inhalt

Botschaft der CTN-Geschäftsführerin 3

Klinische Studien und das CTN
- Was sind klinische Studien? 6
- Wie rationalisiert ein europäisches Netzwerk die Forschung? 7
- Wann wurde das ECFS-CTN gegründet? 7

Die Struktur des CTN
- Welche Einrichtungen sind beteiligt und warum? 8

Willkommen im CTN 10

Leitung des CTN 11

Finanzierung 12

Aktivitäten des CTN
- Protokollüberprüfung 14
- Standardisierung 20
- Patient Reported Outcomes (PROs) 21
- Machbarkeitsstudien 26
- Sonstige Aktivitäten 27

Aktive klinische Studien innerhalb des ECFS-CTN im Jahr 2019 28

Europäische Forschungsprojekte 30

Finanzbericht 2019 30

Anhang - Vom ECFS-CTN unterstützte Studien 32

Botschaft der CTN-Geschäftsführerin

Silke van Koningsbruggen-Rietschel
Direktorin ECFS-CTN

Liebe Freunde,

wir freuen uns, den Jahresbericht 2019 des ECFS-CTN (European Cystic Fibrosis Society - Clinical Trial Network) mit Ihnen zu teilen.
Dieser Bericht gibt Ihnen einen Überblick über unsere Arbeit im Jahr 2019, einschließlich allgemeiner Informationen über klinische Studien und die Rolle des CTN, einen Überblick über spezifische Aktivitäten innerhalb unseres Netzwerks, einer Liste aller klinischen Studien, die 2019 über unser Netzwerk liefen, sowie einer Beschreibung der verschiedenen europäischen Projekte - um nur einige der Punkte zu nennen.

Auch dieser Bericht resultiert aus einer hervorragenden Zusammenarbeit mit Patienten und Patientenorganisationen, die ihr fachliches Feedback und ihre Ideen beigesteuert haben. Die im Bericht zitierten Aussagen von Patienten, die sich aktiv am CTN beteiligen, unterstreichen die wichtige Arbeit, die innerhalb unseres Netzwerks geleistet wird. Mit CF Europe wurde eine neue Zusammenarbeit mit dem Schwerpunkt auf Studienergebnissen und deren Verbreitung gestartet. Auch das patientenzentrierte Projekt zu den PROMS (Patient Reported Outcome Measures) macht unter der Leitung von Kate Hayes große Fortschritte. Herzlichen Dank Ihnen allen, für Ihr großartiges Engagement!

2019 war wieder ein sehr arbeitsreiches Jahr: In unserem Netzwerk wurden 26 Studien und 11 Machbarkeitsstudien durchgeführt, 15 Protokolle wurden überprüft. Bei den meisten Studien handelte es sich um Phase-III-Studien, die den erfolgreichen Fortschritt von Wirkstoffen in der Pipeline zeigen. Es waren aber auch viele Phase-I- und Phase-II-Studien dabei, die neue Wirkstoffe in ihrer klinischen Entwicklung voranbringen.

Wir alle haben 2019 sehr hart gearbeitet und wichtige Meilensteine unserer Mission erreicht: Wir haben die klinische Forschung im Bereich CF intensiviert und werden unseren Patienten wieder neue Medikamente für zur Verfügung stellen, sobald die „Triple-Therapie“ in Europa zugelassen sein wird. Auch wenn diese Dreifachtherapie einen wichtigen Meilenstein darstellt, sind wir noch lange nicht fertig! Unser ultimatives Ziel muss es sein, die CFTR-Funktion bei jedem einzelnen Patienten (unabhängig von seiner Mutation oder seinem Heimatland) wiederherzustellen, aber auch die verbleibende Infektion und die chronische Entzündung zu reduzieren. In der nahen Zukunft werden wir eine Entwicklung vieler Wirkstoffe aus der präklinischen und frühen klinischen Phase sehen, die unseren vollen Einsatz benötigen werden: CFTR-Modulatoren mit höherer Wirksamkeit, Antisense-Oligonukleotide (ASOs), Gen- und m-RNA/t-RNA-Therapien, Read-Through-Wirkstoffe, ENaC-Blocker, Wirkstoffe, die alternative Chloridkanäle aktivieren, entzündungshemmende Wirkstoffe, Antibiotika, Biofilm-unterbrechende Wirkstoffe, usw. Es liegt also noch eine Menge Arbeit vor uns!

Um diese zukünftigen Herausforderungen zu meistern, bauen wir unser Netzwerk auf 58 Standorte in 17 europäischen Ländern aus, die ca. 22.000 CF-Patienten betreuen. Ein Prüfarzt von einem neuen Standort/Land (Adrien Halasz aus Budapest, Ungarn) wird uns erklären, was es bedeutet, ein CTN-Standort zu werden.

Wir danken unseren Partnern für die nachhaltige und zuverlässige Finanzierung unseres Netzwerks: den Patientenorganisationen aus Frankreich, Großbritannien, Italien, Belgien, den Niederlanden, der Schweiz, Luxemburg

„Auch dieser Bericht ist das Ergebnis einer hervorragenden Zusammenarbeit mit Patienten und Patientenorganisationen ...“

und Deutschland sowie der ECFS.
Wir sind ebenfalls sehr dankbar für die allgemeine finanzielle Unterstützung der Cystic Fibrosis Foundation (USA) für den Aufbau zusätzlicher Forschungskapazitäten in vielen unserer Standorte sowie im CTN Core Centre im belgischen Löwen.
Das Management der komplexen Daten und die Erstellung dieses hervorragenden Berichts wären ohne Fiona Dunlevy - Qualitätsmanagerin des CTN - nicht möglich gewesen. Wir alle danken ihr für ihre hervorragende Arbeit innerhalb unseres Netzwerks.

Ohne ein sehr engagiertes und starkes Team hätte unser Netzwerk nie das heutige Erfolgsniveau erreicht. Ich möchte dem Koordinierungsteam mit Veerle Bulteel, Anne Verbrugge und Katia Reeber sowie unseren Vorstandsmitgliedern Damian Downey, Lieven Dupont, Nick Simmonds, Nadine Dufeu, Hettie Janssens, Dorota Sands und Paola de Carli für ihre unermüdliche Unterstützung und ihr Engagement danken. Besonders hervorheben möchte ich abschließend Ihren un ermüdlichen Einsatz, ohne unser heutiger Erfolg undenkbar wäre

Lassen Sie uns auf diesem guten Weg und mit dieser hervorragenden Teamarbeit fortfahren, um Therapien für alle unsere Patienten weiter zu entwickeln!

Bitte geben Sie uns Ihr Feedback zu diesem Bericht und kontaktieren Sie uns, wenn Sie Anmerkungen haben oder es Punkte gibt, über die Sie gerne in zukünftigen Berichten informiert werden möchten.

Gerne können Sie diesen Bericht auch an Ihre Teams weitergeben!

Mit freundlichen Grüßen

Silke van Koningsbruggen-Rietschel
Direktorin ECFS-CTN

DOWNLOAD Ihrer persönlichen Version als PDF

www.ecfs.eu/ctn

2019 UNSER JAHR IN ZAHLEN

CTN feiert 10. Geburtstag

2 wissenschaftliche ABHANDLUNGEN wurden über Messungen bei Studien veröffentlicht

New STUDIEN ERGEBENISSEN Zusammenarbeit CF Europe

475 PERSONEN mit CF neu in Studien aufgenommen

Machbarkeitsprüfungen für 11 studien

CTN expandiert mit 15 neuen Standorten in 11 Ländern

3 EU Projekte laufen

15 Protokolle

26 aktive Studien werden unterstützt

- Wiederherstellung der CFTR-Funktion (22)
- Bekämpfung von Infektionen / Entzündungen (1)
- Mukoziliäre Clearance (3)

von 9 Firmen wurden von Personen mit CF, ihren Familien, Ärzten, Forschungskoordinatoren und Statistikern überprüft

Klinische Studien und das CTN

Wie funktioniert das?

Was sind klinische Studien?

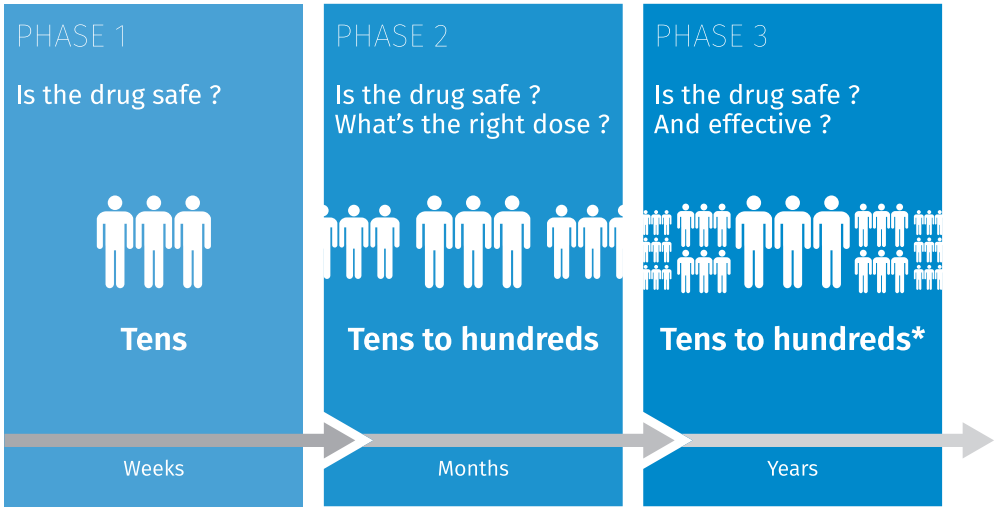
IIn klinischen Studien nehmen Personen ohne CF und/ oder Personen mit CF ein neues Medikament ein, um den Forschern zu helfen, zu beurteilen, ob das Medikament bei der Behandlung der betreffenden Krankheit sicher und wirksam ist.

Alle Medikamente, auch die für CF, werden in mehreren klinischen Studien von Phase 1 bis Phase 3 getestet. Nach der Zulassung werden die Sicherheitstests in der „realen Welt" mit Phase-4-Studien fortgesetzt. Wir arbeiten bei den Phase-4-Studien mit dem ECFS-Patientenregister zusammen..

Wo kann ich mehr über klinische Studien erfahren?

Sie können sich dieses Faltblatt des CF Trust in Großbritannien ansehen: https://www.cysticfibrosis.org.uk/get-involved/clinical-trials/taking-part-in-clinical-trials

Fragen Sie bei Ihrer nationalen Patientenorganisation nach Informationen in Ihrer Sprache.



*Da sich das Studiendesign für seltene Krankheiten verbessert, werden weniger Patienten benötigt, um das Medikament zu testen

ECFS-CTN

Unsere Aufgabe

Wie rationalisiert ein europäisches Netzwerk die Forschung?

Ziel des ECFS-CTN ist es, die klinische Forschung im Bereich CF zu intensivieren, um schnellstmöglich neue Medikamente für Betroffene bereitstellen zu können.

Es verbessert die Zusammenarbeit zwischen der gesamten CF-Gemeinschaft (Personen mit CF, Patientenorganisationen, Pharmaindustrie und akademische Forscher)

Es sorgt länderübergreifend für einen Austausch von Fachwissen, um Forschungsverfahren und -messungen zu standardisieren

Es gibt den Mitgliedsstandorten eine stärkere Stimme bei Problemen mit klinischen Studien

Es fördert qualitativ hochwertige Forschung durch Schulung der Mitarbeiter und Überwachung der Standort-Performance

Wann wurde das ECFS-CTN gegründet?

Das ECFS-CTN wurde 2008 von der ECFS und dem von der EU geförderten Projekt EuroCareCF gegründet. Die Cystic Fibrosis Foundation (CFF) in den USA hatte bereits ein erfolgreiches Netzwerk für klinische Studien (CFF-Therapeutic Drug Development Network – CFF-TDN)) auf die Beine gestellt und half uns beim Aufbau des ECFS CTN.

Die Struktur des CTN

Die Organisation

Welche Einrichtungen sind beteiligt und warum?

Was ist, wenn meine Stadt nicht auf der Karte verzeichnet ist?

Kann ich trotzdem an Studien teilnehmen?

Fragen Sie Ihr CF-Betreuungsteam nach klinischen Studien in Ihrer Nähe

Im Jahr 2019 gab es 43 CTN-Standorte in 15 europäischen Ländern. Die teilnehmenden Einrichtungen verfügen über eine gute Erfolgsbilanz bei klinischen Studien, gut ausgebildetes Personal und eine gute Infrastruktur. Auf der Karte auf der nächsten Seite können Sie sehen, welche Standorte zum Netzwerk gehören

Wir haben 2018 einen Aufruf gestartet, um neue Standorte für das CTN zu gewinnen. Nach sorgfältiger Auswertung der Bewerbungen haben wir 15 neue Standorte aus 11 Ländern ausgewählt, die seit Januar 2020 offizielle CTN-Mitgliedsstandorte sind. Wir freuen uns, die folgenden Standorte im ECFS CTN begrüßen zu dürfen:

- Amsterdam, Niederlande
- Bern, Schweiz
- Brünn, Tschechische Republik
- Brüssel, Belgien
- Budapest, Ungarn
- Cardiff, Großbritannien
- St. Vincents & Our Lady's Childrens' Hospitals, Dublin, Irland
- Gent, Belgien
- Glasgow, UK
- Grenoble, Frankreich
- Heidelberg, Deutschland
- Innsbruck, Österreich
- King's Hospital London, UK
- Manchester, UK
- Turin, Italien

Unsere Standorte

Amsterdam
Barcelona
Belfast
Berlin
Bern
Birmingham
Bordeaux/Toulouse
Brno
Brussels UZB
Brussels ULB
Budapest
Cambridge
Cardiff
Cologne
Copenhagen
Dublin
Dublin (Vincent's & Our Lady's)
Essen/ Bochum
Florence
Frankfurt
Genoa
Ghent
Glasgow
Gothenburg
Grenoble
Hanover
Heidelberg
Innsbruck
Jena
Jerusalem
Leeds
Leuven
Lille
Lisbon
London Brompton
London Kings
Lyon
Manchester
Milan
Mucomed (Montpellier, Marseille, Nice)
Munich
Nottingham
Paris (Cochin, Debré and Necker hospitals)
Petah Tikva
Prague
Reims
Rome Bambino Gèsu
Rome Sapenzia
France Northwest (Roscoff, Rennes, Nantes)
Rotterdam
Rouen
Southampton
Stockholm
Turin
Utrecht
Verona
Warsaw
Zurich

Willkommen im CTN

Eine neue Einrichtung erklärt, warum sie zum CTN gestoßen ist

Adrien Halász,
Leitender Prüfarzt des Standorts Budapest

1. Warum waren Sie motiviert, dem ECFS-CTN beizutreten?

Mit finanzieller Unterstützung der ungarischen Regierung wurde 2015 in Budapest ein neues CF-Zentrum im Nationalen Koranyi-Institut für Pneumologie gebaut. Aufgrund der wachsenden Anzahl von Erwachsenen in der ungarischen CF-Population bestand ein großer Bedarf, die Versorgung für an CF erkrankte Erwachsene zu verbessern. Da wir das Zentrum für die Patienten geschaffen haben, haben wir sofort eine enge Zusammenarbeit mit der CF-Patientenvereinigung angestrebt, um ihre Bedürfnisse zu verstehen und ihnen Rechnung tragen zu können. Wir haben von Anfang an jede wichtige Entscheidung mit den Patienten besprochen und unsere Entwicklungsprojekte durch gemeinsame Anträge auf Finanzhilfen umgesetzt. Um eine optimale CF-Versorgung zu gewährleisten, haben wir unser CF-Zentrum streng nach den Richtlinien der ECFS organisiert. Gleichzeitig haben wir erkannt, dass es nicht ausreicht, modernste medizinische Instrumente, Geräte und Medikamente für die CF-Behandlung zu erhalten, sondern wir benötigten auch aktuelles Wissen, um die neuen Möglichkeiten zur Verbesserung der Behandlung zu verstehen. Wir haben erkannt, dass umfassendes Wissen nicht nur durch eigene Erkenntnisse und Erfahrungen, sondern vor allem mithilfe der internationalen Expertengemeinschaft erworben werden kann. Neben dem Zugang zu den neuesten Medikamenten für unsere Patienten war dies der Hauptgrund, der uns motiviert hat, dem ECFS-CTN beizutreten.

Als wir unsere Arbeit im neuen CF-Zentrum aufgenommen haben, wurden im Krankenhaus 80 CF-Patienten behandelt. Heute behandeln wir 140 Patienten, das sind mehr als zwei Drittel der ungarischen erwachsenen CF-Patienten. Wir haben uns zum größten CF-Zentrum in Ungarn entwickelt.

2. Welche Vorteile erhoffen Sie sich von der ECFS-CTN-Mitgliedschaft für Ihre Patienten?

Die Lebensqualität der CF-Patienten hängt vor allem von ihrer Behandlung ab. Wir können uns in Ungarn glücklich schätzen, da unsere CF-Patienten ihre Medikamente kostenlos erhalten. Pulmozyme, inhalative Antibiotika und tägliche Medikamente stehen immer zur Verfügung. Auch über eine CFTR-modifizierende Therapie wird derzeit verhandelt. Da aber die Zahl der neuen Medikamente für CF ständig steigt, wird der frühzeitige Zugang zu diesen Produkten immer schwieriger. Die einzige Möglichkeit dafür ist die Teilnahme an klinischen Studien. Unsere Patienten haben oft das Gefühl, dass sie keine Zeit zu verlieren haben, deshalb sollten wirksame Medikamente so schnell wie möglich zur Verfügung stehen. Da die meisten unserer Patienten junge Erwachsene sind, lesen sie von den neuen Medikamenten und sind begierig darauf, sie zu bekommen. Sie wissen um klinische Studien und wie diese ihr Leben verändern können und sind bereit, daran teilzunehmen. Durch die Teilnahme am ECFS-CTN haben unsere Patienten die Möglichkeit, die neuesten Medikamente zu erhalten oder sie abzulehnen, wenn sie sich unsicher fühlen. Auf diese Weise geben wir ihnen eine Wahl und die Möglichkeit, über ihren eigenen Behandlungsprozess zu entscheiden. Wir sind stolz darauf, als Mitglied von ECFS-CTN ausgewählt worden zu sein, und überzeugt, dass diese Mitgliedschaft unseren CF-Patienten zugutekommen wird, indem sie Zugang zur besten verfügbaren Behandlung erhalten.

Leitung des CTN

Die Organisation

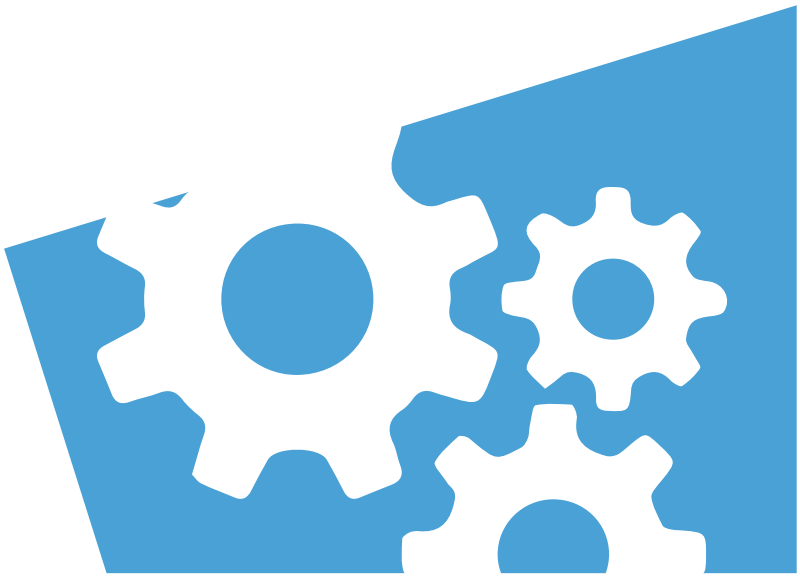
Wie funktioniert das CTN?

Das ECFS-CTN ist ein ECFS-Projekt mit einer Leitung durch:

- den Exekutivausschuss (6 Ärzte aus verschiedenen Ländern und 1 Vertreter der Patientenorganisation), die sich zweimal monatlich in einer Telefonkonferenz austauschen. Sie arbeiten Netzwerkrichtlinien aus, lenken die Aktionen der verschiedenen Ausschüsse und genehmigen klinische Studien, die nach Überprüfung der Protokolle in das CTN-Portfolio aufgenommen werden.

- den Lenkungsausschuss (Steerco), der sich aus je einem Arzt aus jedem Mitgliedsstandort, einem Vertreter der finanzierenden Patientenorganisationen, Vorstandsmitgliedern und CTN-Mitarbeitern zusammensetzt. Die Steerco-Mitglieder treffen sich zweimal im Jahr persönlich, um CTN-Aktivitäten, Strategien und gemeinsame Herausforderungen zu besprechen.

Das CTN-Koordinationszentrum beschäftigt 5 Mitarbeiter, die das Tagesgeschäft des CTN organisieren und die verschiedenen Ausschüsse bei der Durchführung ihrer Aufgaben unterstützen.



Finanzierung

Unabhängigkeit bewahren

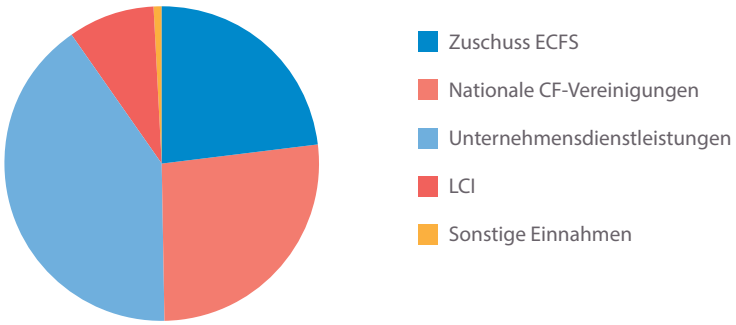
ECFS-CTN finanziert sich durch Zuschüsse und durch Honorare für wissenschaftliche Dienstleistungen an Pharmaunternehmen.

ECFS-CTN unterstützt Pharmaunternehmen bei der Verbesserung des Designs von klinischen Studien. Es ist wichtig, dass wir finanziell nicht von den Pharmaunternehmen abhängig sind, damit kein Interessenkonflikt entsteht, wenn wir wissenschaftliche Beratung zu klinischen Studien bereitstellen. Daher limitieren wir unsere Einnahmen aus Dienstleistungen für die Pharmaindustrie und sind auf die großzügige Unterstützung der ECFS und der Patientenorganisationen angewiesen, um den Fehlbetrag auszugleichen.

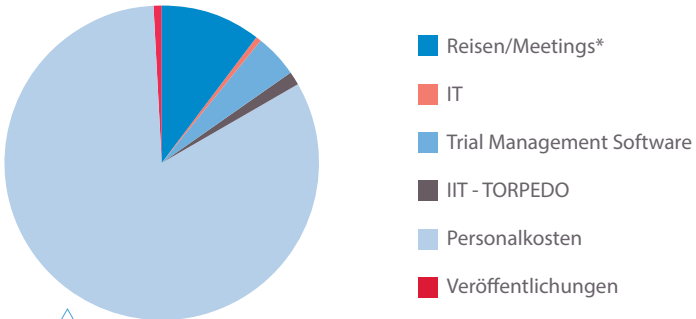
Das ECFS-CTN bedankt sich bei den folgenden Organisationen für die Finanzierung unserer Arbeit im Jahr 2019: ECFS, CFF, europäischen Patientenorganisationen (aus Frankreich, Deutschland, Großbritannien, Italien, Belgien, den Niederlanden, Luxemburg und der Schweiz). Wir danken auch CF Europe für die Koordinierung der Beiträge der nationalen Patientenorganisationen.

Unseren Finanzbericht 2019 finden Sie am Ende dieses Dokuments.

Einnahmen



Ausgaben



„Wenn das Medikament eines Tages bei den Patienten ankommt, freue ich mich, wenn ich sagen kann: Dank mir habt ihr dieses Medikament. Ich habe den Eindruck, dass die Patienten seit einigen Jahren verfolgen, wenn neue Medikamente auf den Markt kommen, und denken: „Was ist mit mir, was ist mit meiner Mutation?“ Also suchen sie nach Studien. Vor ein paar Jahren war das noch nicht so, da haben die Patienten noch gewartet, bis das neue Medikament kam. Aber jetzt sind es mehr die Patienten, die nach den Informationen suchen. Im Moment ist das Interesse an klinischen Studien hoch - sie wissen, dass sich die Dinge bewegen, und sie wollen daran teilhaben.”

Audrey, CF-Patientin aus Frankreich

CTN-Aktivitäten

Protokollüberprüfung / Was wir tun

Protokollüberprüfung

Eine klinische Studie soll Antwort auf eine wissenschaftliche Frage geben (z. B. ist das Medikament sicher und wirksam?), sie muss gut geplant sein, damit das Krankenhauspersonal effizient arbeiten kann, und sollte den Teilnehmern nur das abverlangen, was auch notwendig ist.

Unser System zur Protokollüberprüfung gibt Personen mit CF ein Mitspracherecht bei der Festlegung der Forschungsagenda und stellt sicher, dass die Erfahrungen der Patienten in den Studien berücksichtigt werden.

Das Protokoll ist das „Handbuch" für klinische Studien und beschreibt ganz genau, wie das Medikament getestet wird, wie die Patienten einbezogen werden und wie die Daten analysiert werden.

Die Verantwortung für das Design der klinischen Studie und das Verfassen des Protokolls liegt bei dem pharmazeutischen Unternehmen, das das Medikament entwickelt.

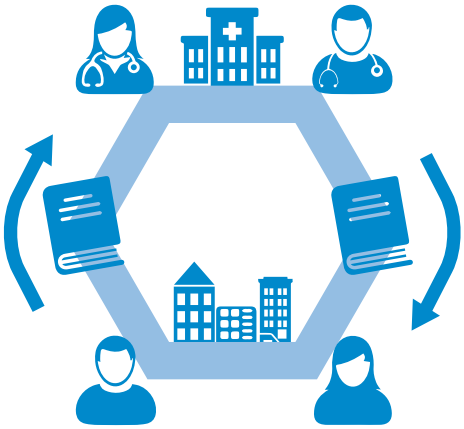
Das Design einer guten klinischen Studie ist eine Teamleistung und undenkbar ohne den Input aller beteiligten Hauptakteure - also der Ärzte, der Forschungskoordinatoren, der Statistiker und natürlich der an CF erkrankten Personen und ihren Familien.

Protokollüberprüfung

Als ECFS-CTN koordinieren wir die Überprüfung neuer klinischer Studienprotokolle durch Expertengruppen aus CF-Ärzten, Forschungskoordinatoren, akademischen Forschern und Personen mit CF und ihren Familien.

Sie prüfen, ob die Forschungsfrage sinnvoll ist, der praktische Plan gut durchdacht ist und die Anforderungen der Studienteilnahme für die Teilnehmer zumutbar sind.

Das ECFS-CTN ermutigt Sponsoren nachdrücklich, das Protokoll entsprechend den Empfehlungen der Überprüfung zu aktualisieren



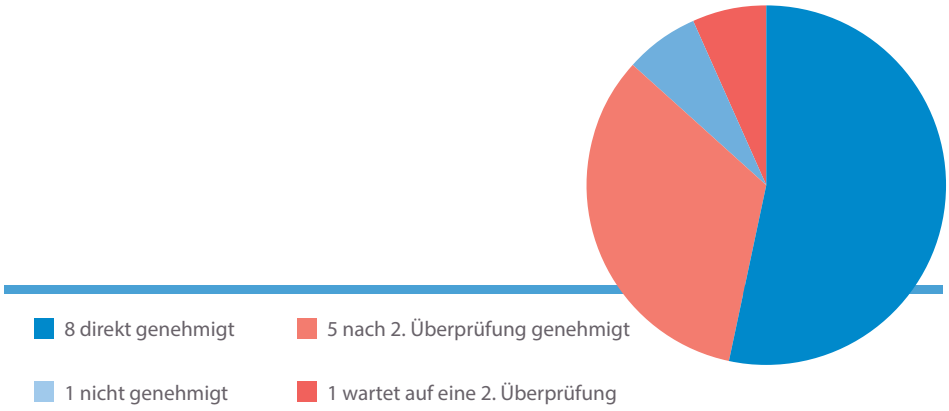
Klinische Studien bei CF umfassen oft Teilnehmer aus verschiedenen Städten, Ländern und sogar Kontinenten. Bei Studien, die in Europa und den USA durchgeführt werden sollen, wird manchmal eine gemeinsame „globale“ Protokollüberprüfung mit unseren Partnernetzwerken für klinische Studien in den USA und Kanada durchgeführt. Im Jahr 2019 haben alle drei Netzwerke zusammen an der Verbesserung und Straffung dieses Prozesses gearbeitet.

CTN-Aktivitäten

Was wir tun

Protokollüberprüfung

Im Jahr 2019 haben wir 15 Protokolle von 9 verschiedenen Unternehmen geprüft. Bei 7 Protokollen hat das ECFS-CTN vor der Genehmigung um Klarstellungen oder Änderungen gebeten. Insgesamt wurden 13 Protokolle genehmigt, 1 wurde nicht angenommen, und 1 wartet auf Rückmeldung vom Sponsor und eine zweite Überprüfung.



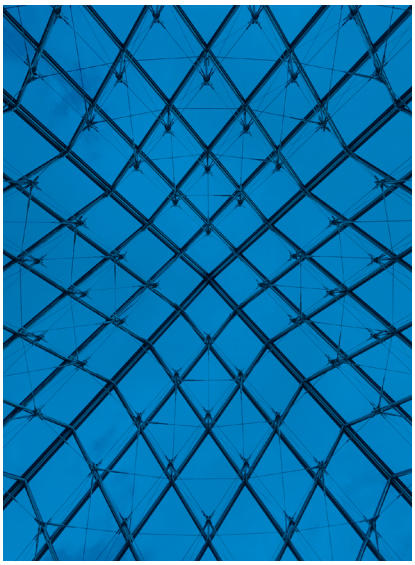
Wenn ein Protokoll geprüft und genehmigt wurde, teilen wir allen Standorten im ECFS-CTN mit, dass das Protokoll mit Erfolg geprüft wurde.

Im Jahr 2019 sind außerdem 6 Prüfer mit CF (oder Prüfer aus Familien mit einem CF-Patienten) aus 4 Ländern dem Protokollprüfungsausschuss beigetreten, wodurch sich die Gesamtzahl der Prüfer aus der CF-Community auf 23 Prüfer aus 11 Ländern erhöht hat. Wir sind allen Prüfern aus der CF-Community sehr dankbar, dass sie ihre Zeit und ihr Fachwissen mit uns teilen.

ecfs
ctn
Clinical Trials Network

CTN-Aktivitäten

Marc aus den Niederlanden lebt mit CF und erklärt, was bei der Überprüfung eines Protokolls zu beachten ist



Was hat Sie motiviert, dem Protokollprüfungsausschuss beizutreten?

Die Wissenschaft und das Wissen rund um CF haben in den letzten Jahren einen großen Schritt in die richtige Richtung gemacht. Das ist eine fantastische Nachricht für alle Patienten mit CF. Es könnte Ihnen ihre Zukunft zurückgeben.

Als ich jung war, erklärten die Ärzte meinen Eltern, dass ich nicht älter als 15 Jahre alt werden würde. Glücklicherweise lagen sie falsch und meine Gesundheit hat sich in den letzten Jahren stetig gebessert. Ohne die Wissenschaft und das gute Gesundheitssystem in Europa wäre das meiner Ansicht nach nicht möglich gewesen.

Ich hoffe, dass meine Arbeit in der Prüfungskommission den Experten und Ärzten hilft, das Rätsel von CF zu lösen und dass es jungen Patienten so gut geht wie mir, oder sogar noch besser.

Ilst es schwierig, ein wissenschaftliches Protokoll zu lesen?

Jedes Protokoll hat eine Zusammenfassung, in der im Klartext erklärt wird, worum es in der Studie geht. Diese Zusammenfassung gibt Ihnen genug Hintergrundwissen, um das gesamte Protokoll zu lesen und die tiefer gehenden Fachbegriffe mit dem Inhalt der Zusammenfassung zu verknüpfen. Das erste Protokoll ist das schwierigste. Für die Überprüfung eines Protokolls benötige ich etwa 60 - 90 Minuten, je nach Thema/Komplexität der Studie.

IWas ist das Interessante an der Teilnahme am Protokollprüfungsausschuss?

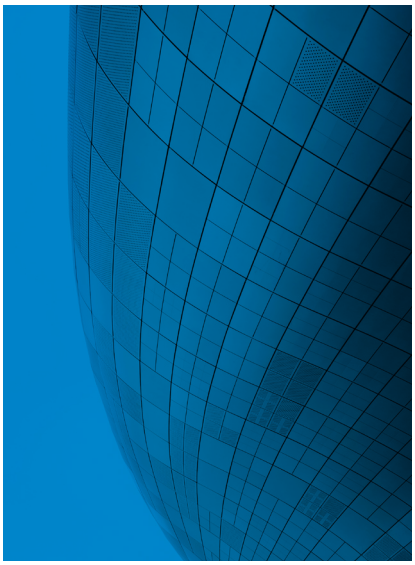
Mit jeder Überprüfung erfahre ich mehr über die Welt hinter CF. Ich erhalte Einblicke in meine eigene Krankheit und das finde ich sehr faszinierend.

Warum ist es wichtig, dass eine Person mit CF oder ein Familienmitglied das Protokoll der klinischen Studie überprüft?

Es ist sehr gut, dass die Studien aus verschiedenen Blickwinkeln betrachtet werden. Ich sehe andere Dinge als ein Familienmitglied und umgekehrt. Gemeinsam können wir ein Feedback zur Studie geben, darüber, wie sie verbessert werden könnte oder wie eine bessere Akzeptanz erreicht werden kann.

CTN-Aktivitäten

Bart, ein Elternteil eines CF-Patienten in Belgien, berichtet über seine Erfahrungen bei der Überprüfung von Protokollen mit dem ECFS-CTN



Was hat Sie motiviert, dem Protokollprüfungsausschuss beizutreten?

Ich bin dem Protokollprüfungsausschuss aus mehreren Gründen beigetreten:

- die Möglichkeit, einen (hoffentlich) wertvollen Beitrag für die CF-Gemeinschaft zu leisten (als Gegenleistung für die hervorragende Betreuung, die uns die ganze Zeit zuteilwird)
- die Möglichkeit, die Stimme eines Patienten (oder Elternteils eines Patienten) zu vertreten
- die Idee, ein Gegengewicht zum rein wissenschaftlichen Ansatz einer klinischen Studie zu bilden (die „menschliche Note“)
- die Chance, einen einzigartigen Einblick (wenn auch unter strenger Geheimhaltungspflicht) in die Bemühungen zu erhalten, die in die Suche nach einer effektiveren Behandlung von CF investiert werden

Ist es schwierig, ein wissenschaftliches Protokoll zu lesen? Ist es eine Menge Arbeit?

Einerseits ist es gut zu wissen, dass der Aufbau eines Protokolls immer ähnlich ist. Mit etwas Übung fällt es relativ leicht, die Teile herauszufinden, die aus Sicht des Patienten am relevantesten sind und welche man überspringen kann. Die Schulung, die wir vor dem Beginn der Arbeit an den Protokollen erhielten, war in dieser Hinsicht sehr hilfreich und wichtig.

Andererseits sind die Protokolle meist in einem wissenschaftlichen Jargon verfasst. Für ein ausreichendes Verständnis des Protokolls sind neben Grundkenntnissen der gebräuchlichsten Konzepte und Begriffe auch gute Englischkenntnisse erforderlich.

Protokolle sind oft recht langatmige Dokumente. Obwohl das (vom ECFS-CTN zur Verfügung gestellte) Vorlagenformular mit Leitfragen hilft, den richtigen Fokus zu behalten, vergehen schnell ein paar Stunden, bevor die (relevanten Teile der) Protokolle gelesen und ein Feedback verfasst ist.

Warum ist es wichtig, dass das Protokoll von einem Familienmitglied überprüft wird?

Ganz einfach, weil die Auswirkungen einer Studie auf die bereits bestehende belastende Behandlung eines CF-Patienten nicht immer im Fokus der wissenschaftlichen Mitarbeiter zu stehen scheint. Die Überprüfung durch ein Familienmitglied für etwas Empathie hinzu ...

Die Bedeutung der Stimme des Patienten kann gar nicht hoch genug bewertet werden. Manchmal frage ich mich, ob wir wirklich Einfluss auf die Studienprotokolle haben. Ein ‚Vorher-Nachher‘-Vergleich könnte darüber Aufschluss geben ;-)

CTN-Aktivitäten

Unsere Arbeit

Standardisierung von Verfahren und klinischen Studienmessungen

In der Forschung ist es wichtig, dass wir alle auf die gleiche Art und Weise arbeiten, damit die Ergebnisse aus klinischen Studien verlässlich sind und damit wir die Ergebnisse aus verschiedenen klinischen Studien vergleichen können.

Im Jahr 2019 haben wir 2 neue Abhandlungen veröffentlicht:

- Eine über Pseudomonas aeruginosa

und

- eine über CT-Scans

Das ECFS-CTN bringt Experten aus ganz Europa zusammen, um sich über die beste Vorgehensweise bei der Durchführung klinischer Tests und Messungen in klinischen Studien zu verständigen. Bei einigen Projekten arbeiten wir auch mit unseren amerikanischen und kanadischen Kollegen zusammen

Der ECFS-CTN-Standardisierungsausschuss hat 37 Standardarbeitsanweisungen und 12 von Experten geprüfte Publikationen in wissenschaftlichen Zeitschriften erstellt. Außerdem haben wir ein Informationsblatt für Personen mit CF und ihre Familien über den Schweißtest (verfügbar in 17 Sprachen) und ein pädiatrisches Beratungsblatt für die Sputuminduktion veröffentlicht (das im Laufe des Jahres 2019 in weitere Sprachen übersetzt wurde und jetzt in 14 Sprachen verfügbar ist).

Das ECFS-CTN unterstützt außerdem die Schulung und Zertifizierung des Standortpersonals in den folgenden Messungen für klinische Studien: Multiple-Breath-Washout, Brust-CT-Scan mittels Spirometrie, nasale Potenzialdifferenz, Schweißtest und Darmstrommessung.

Patient Reported Outcomes

Update 2019

2017 startete das ECFS-CTN ein Projekt zur Entwicklung von Patient Reported Outcome Measures (PROMs) in Zusammenarbeit mit Patientenorganisationen.

PROMs decken Themen ab, die für Patienten wichtig sind, wobei die Daten oft durch selbst auszufüllende Fragebögen erhoben werden können. Sie sind von besonderer Bedeutung, da sie wichtige von Patienten gemeldete Informationen über das tägliche Leben liefern, die mit den üblichen Messungen nicht erfasst werden können. Dazu können Messungen der Lebensqualität gehören, wie z. B. die Resilienz der Patienten, Bewältigungsstrategien und die Wahrnehmung ihrer Zukunft und Krankheit. In klinischen Studien können sie eine verlässliche Möglichkeit darstellen, etwas über die Ansicht der Patienten zum Nutzen und den Grenzen einer bestimmten Behandlung zu erfahren.

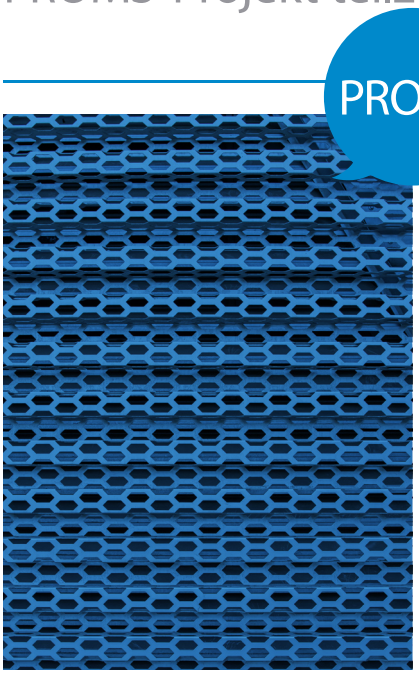
Im Jahr 2019 wurde an allen CTN-Standorten eine Umfrage durchgeführt, um herauszufinden, welche Instrumente zur Erfassung der Lebensqualität/PROM/Symptome in der aktuellen klinischen Praxis eingesetzt werden. Außerdem wurden 120 Interviews mit von CF betroffenen Personen und ihren Betreuern durchgeführt. Die Ergebnisse aus beiden Projekten wurden zusammengefasst und werden derzeit für die Veröffentlichung mit dem folgenden Titel vorbereitet: We have to keep asking questions: Patient Reported Outcome Measures in Cystic Fibrosis: A Qualitative Study of People with Cystic Fibrosis and their Caregivers.

Im Jahr 2019 hat das ECFS-CTN die (2018 begonnene) Arbeit mit unseren Partnern aus der Patientenorganisation CF Europe fortgesetzt, um die Prioritäten der Patienten zu erforschen und die von den Patienten identifizierten Themen tiefer zu ergründen. Zu diesem Zweck haben wir eine Patientenberatungsgruppe gebildet, die sich aus Personen mit CF, Familienangehörigen und Vertretern das ECFS-CTN und von CF Europe zusammensetzt. In monatlichen Telefonkonferenzen wurden bestehende Fragebögen zur Lebensqualität ausgewertet und Verbesserungsvorschläge diskutiert. Dieser praxisnahe Ansatz hat zu Empfehlungen geführt, wie die von den Patienten berichteten Ergebnisse zunächst in klinischen Studien und schließlich auch bei Routinebesuchen in der Klinik bewertet werden können. Zu einem Entwurf für einen CF-spezifischen Fragebogen kommen in einem nächsten Schritt Tests in größerem Maßstab.

Wir sind immer auf der Suche nach begeisterten und motivierten Personen mit CF und Betreuern, die uns bei unserer Forschung unterstützen. Wenn Sie Interesse haben, sich an diesem patientenzentrierten Projekt zu beteiligen, wenden Sie sich bitte an Kate Hayes, eine unserer CTN-Mitarbeiterinnen (k.hayes@qub.ac.uk)

CTN-Aktivitäten

Diana, eine CF-Patientin aus Deutschland, erklärt, wie es ist, am PROMS-Projekt teilzunehmen



Wie sind Sie in das Projekt PAG-Gruppe/PROMs involviert worden?

Ich wurde vom Mukoviszidose e.V. Bundesverband Cystische Fibrose (CF) gefragt, ob ich Interesse hätte, in einem multidisziplinären Team im Rahmen eines sehr wichtigen europäischen Projekts mitzuarbeiten. Sie suchten Personen mit CF mit einem gewissen Verständnis, guten Englischkenntnissen und Erfahrung mit der Krankheit. Ich bin im Bundesvorstand des Verbands und war zu dieser Zeit die meiste Zeit zu Hause und wartete auf meine Rente. Und natürlich hat es vielleicht eine Rolle gespielt, dass ich selbst an CF leide und schon zwei doppelseitige Lungentransplantationen hinter mir habe. :-)

Was hat Sie motiviert, daran teilzunehmen?

PRO-Fragebögen sind sehr wichtig und sollten noch mehr Bedeutung haben. Eine gute Lungenfunktion und relativ normale Blutwerte tragen zu einem größeren Sicherheitsgefühl bei, aber häufig merkt man eine Verbesserung oder Verschlechterung auf eine subtilere Art und Weise, die bei einer Untersuchung in einem CF-Zentrum nicht genau gemessen werden kann. Außerdem werden in den am häufigsten verwendeten „alten" Fragebögen viele Vergleiche angestellt, und das finde ich einfach nicht gut. Verbesserung oder Verschlechterung sollte immer ein Gefühl für sich selbst sein und in keiner Weise mit dem Leistungsniveau anderer in Verbindung gebracht werden.

Was beinhaltet die Teilnahme? (Was passiert?)

Der Start war für mich ehrlich gesagt ziemlich hart. Ich bin für meine sehr vorausschauende Art bekannt und bei den ersten Treffen konnte ich nicht erkennen, wohin die Reise gehen würde, was unsere Ziele waren und wie die Gruppe arbeiten würde. Alle Treffen fanden telefonisch statt und nur wenige Mitglieder der Gruppe waren englische Muttersprachler. Ich denke jedoch, dass uns der Start gelungen ist. Wir haben viele bestehende Fragebögen und Rückmeldungen zum französischen Fragebogen verglichen, um einen Ausgangspunkt zu erhalten. Von diesem Punkt aus gingen wir alle wichtigen Kategorien durch, wie z. B. körperliche oder emotionale Funktionen. Wir sprachen über den Stil der Fragen, den wir verwenden wollten, und über die positive Konnotation, die wir implizieren wollten. Und so trafen wir uns Monat für Monat per Telefon, später per Zoom, und diskutierten diese Themen. Als die Arbeit zunehmend konkreter wurde, beschlossen wir, verlängerte Wochenendtreffen abzuhalten.

Warum ist das PROMs-Projekt wichtig?

Das ist leicht zu beantworten: Die bestehenden Fragebögen spiegeln den Alltag von uns CF-Patienten nicht wider und sind viel zu unspezifisch. Gerade im Hinblick auf die Bewertung neuer Medikamente scheinen die „alten" Fragebögen nicht geeignet, um ein gutes Gefühl für eine Verbesserung bei den Patienten zu bekommen.

Wie hoffen Sie, kann es Personen mit CF helfen?

Das Nachdenken über den eigenen Gesundheitszustand ist ein besonders wichtiger Teil im Alltag jedes CF-Patienten. „Gezwungen" zu sein, einen Fragebogen zu beantworten, der eine negative Konnotation hat oder meine Sorgen nicht widerspiegelt, erscheint mir einfach als Zeitverschwendung und wird niemandem helfen. Die Erstellung eines Fragebogens, der leicht zu beantworten und für viele Patienten gut nachvollziehbar ist, würde also sowohl für die Patienten als auch für ihre Ärzte eine große Verbesserung sein. Darüber hinaus kann ein gut gemachter Fragebogen helfen, die Entwicklung neuer Medikamente zu verbessern und zu beschleunigen.

Wie gefällt Ihnen die Arbeit mit einer sehr heterogenen Personengruppe, zu denen auch Wissenschaftler und Ärzte gehören?

Ich mochte die verschiedenen Teammitglieder sehr. Mit unseren sehr unterschiedlichen Hintergründen waren wir in der Lage, völlig verschiedene Sichtweisen auf das Leben mit CF einzubringen. Dadurch, dass wir „unsere eigenen" Ärzte und Wissenschaftler hatten, konnte ich mich auf das konzentrieren, was wir tun wollten. Sie brachten sowohl das Fachwissen über CF als auch über wissenschaftliche Methoden für Fragebögen mit. Und neben dem fachlichen Aspekt bin ich immer wieder erstaunt über das Herzblut, das sie alle in dieses Projekt gesteckt haben. Also vielen Dank an alle, besonders an Kate, die alles koordiniert hat und nebenher noch die Zeit und Energie hatte, uns das Gefühl zu geben, dass wir willkommen sind und geschätzt werden.

Hat es Ihnen Spaß gemacht, an einem solchen Projekt zu arbeiten?

Ich bin selbst überrascht, wie sehr ich die Arbeit an diesem Projekt im Laufe der Monate genossen habe. So viele verschiedene Personen kennenzulernen und vor allem eine aktualisierte Version eines PRO-Fragebogens auf den Weg zu bringen, und damit vielleicht eine kleine Hilfe für CF-Patienten zu sein. Also ja, es hat mir sehr viel Spaß gemacht.

Würden Sie anderen Personen mit CF empfehlen, an der Gestaltung von Forschung mitzuwirken?

Auf jeden Fall, solange Sie Englisch sprechen, versuchen Sie es einfach. Es ist gar nicht so schwer, wie es am Anfang vielleicht scheint. Man erweitert seinen Horizont, indem man einfach anderen (und natürlich sich selbst) hilft und auch noch Spaß daran hat!

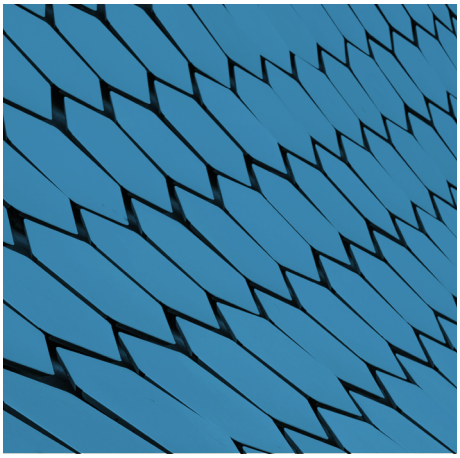
CTN-Aktivitäten

Unsere Arbeit

Qualität & Schulung

Wir überwachen Standorte, die an vom ECFS-CTN genehmigten klinischen Studien teilnehmen, um sicherzustellen, dass die Studien effizient aufgebaut und durchgeführt werden. Wir geben den Standorten das ganze Jahr über Feedback und diskutieren mit den Prüfärzten über die Qualität und Leistung der Standorte.

Der ECFS-CTN-Schulungsausschuss organisiert jährlich einen Schulungstag für Forschungskoordinatoren und Prüfärzte.



Ein Projekt der
EUROPEAN CYSTIC
FIBROSIS SOCIETY

CTN-Aktivitäten

Unsere Arbeit

Dienstleistungen zur Machbarkeit

Nachdem ein Protokoll für die Bearbeitung durch das ECFS-CTN genehmigt wurde, helfen wir dem Pharmaunternehmen, geeignete Standorte für die Teilnahme an der Studie zu identifizieren.

Das Protokoll der klinischen Studie enthält eine Checkliste, die angibt, welche Patienten in die Studie aufgenommen werden sollen.

Das ECFS-CTN hilft dann den Pharmaunternehmen, die Standorte zu kontaktieren, um zu erfahren, ob sie an den Studien teilnehmen können. Wir ermutigen die Unternehmen, alle in Frage kommenden Standorte zu kontaktieren und allen Standorten eine Chance zur Teilnahme zu geben.

Im Jahr 2019 haben wir Machbarkeitsprüfungen für 11 Studien (für 9 Sponsoren) koordiniert.

Beispiel

Eine klinische Studie muss Mädchen und Jungen mit CF im Alter von 11-17 Jahren mit der G551D-Mutation einschließen. Die Standorte müssen in der Durchführung einer Messung namens „Multiple Breath Washout“ (auch LCI genannt) geschult sein.

Wir nehmen die Zentren in die engere Wahl, die einige dieser Kriterien erfüllen, und ermutigen den Sponsor, alle in die engere Wahl genommenen Zentren anzusprechen.

Wir senden einen Fragebogen an die Standorte, die die Kriterien genau prüfen und uns mitteilen, ob sie teilnehmen möchten.

CTN-Aktivitäten

Unsere Arbeit

Fachliche Beratung von Regulierungsbehörden

EECFS-CTN-Mitglieder beraten als Experten die Zulassungsbehörden, die über die Zulassung neuer Medikamente entscheiden..

Sicherheitsüberwachung in Studien

Bei einigen klinischen Studien werden die Daten an einen externen Ausschuss weitergegeben, der die Daten während der Studie unabhängig überwacht. Sollte er Sicherheitsprobleme erkennen, kann dieser Ausschuss die Studie stoppen. Unternehmen können das dem ECFS-CTN angeschlossene „Data Safety Monitoring Board“ mit Sitz in Lyon, Frankreich, nutzen.

Erhöhung der Forschungskapazität

Eine 2016 durchgeführte Umfrage unter ECFS-CTN-Standorten ergab, dass der Mangel an Forschungspersonal ein großes Hindernis für die Teilnahme an klinischen Studien darstellt. Die CFF bot großzügig an, an qualifizierten Standorten die teilweise Finanzierung von zusätzlichem Forschungspersonal zu übernehmen. Insgesamt erhielten 19 ECFS-CTN-Standorte Mittel für die Rekrutierung von Forschungspersonal.

Wir sind der CFF für ihre Unterstützung der Forschungskapazitäten in Europa sehr dankbar. Sie unterstreicht unsere gemeinsame Vision, den Patienten neue Behandlungsmöglichkeiten für CF zu eröffnen. Die Förderung wurde 2018 fortgesetzt, und wir haben die Standorte zu den Auswirkungen dieser Förderung befragt. Hier sind einige der Rückmeldungen:

„Dank des neuen Teammitglieds kann unser Standort nun an einer Frühphasenstudie mit Übernachtung teilnehmen”

„Es ist jetzt einfacher, an vielen Studien gleichzeitig teilzunehmen”

Zusammenfassungen von klinischen Studienergebnissen in einfacher Sprache

2019 hat ECFS-CTN eine neue Zusammenarbeit mit Cystic Fibrosis Europe (CFE) begonnen, um Zusammenfassungen von klinischen Studienergebnissen in einfacher Sprache zu fördern. Zweimal im Jahr lädt CFE an der CF-Forschung beteiligte Unternehmen ein, um eine Vielzahl von Themen zu diskutieren, die an CF erkrankte Personen betreffen. Im Herbst 2019 haben wir darüber diskutiert, wie ECFS-CTN, CFE und die Unternehmen enger zusammenarbeiten können, um Zusammenfassungen klinischer Studienergebnisse in einfacher Sprache zu fördern. Wir sind übereingekommen, dass die Erstellung eines Glossars mit Begriffen, die häufig in Zusammenfassungen von CF-Studien vorkommen, ein guter erster Schritt ist.

Ein Poster über dieses Projekt wurde 2019 auf der Europäischen Konferenz über Seltene Krankheiten und Orphan-Produkte (ECRD) vorgestellt.

Aktive klinische Studien

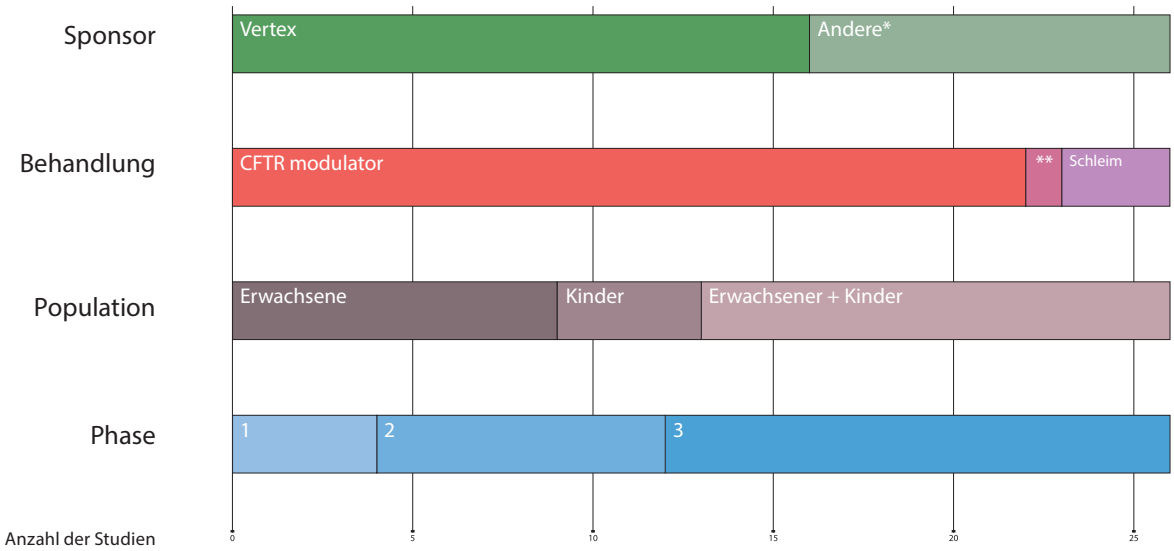
im ECFS-CTN im Jahr 2019

Im Jahr 2019 gab es 26 aktive Studien an ECFS-CTN-Standorten.

Es gab eine gute Mischung von Studien, die für Erwachsene und Kinder offen waren. Die meisten Studien waren in Phase 2 oder 3.

Zwischen November 2018 und November 2019 rekrutierten die CTN-Standorte 475 Personen mit CF für Studien. Erwachsene machten 69 % der Neuaufnahmen aus.

Eine vollständige Liste der von uns unterstützten Studien finden Sie im Anhang (S. 32).



(*) : Proteostasis (2), Corbus (1), Flatley (1), UMC Erasmus (1), Eloxx (1), Boehringer Ingelheim (1), Spyryx (1), Galapagos (1), Abbvie (1)
(**) : Infektion

Details zu den von uns unterstützten Studien (und deren Ergebnisse) finden Sie auf:
www.ecfs.eu/ctn/clinical-trials

Europäische Forschungsprojekte

ECFS-CTN ist an mehreren laufenden EU-Projekten beteiligt

Weitere Informationen finden Sie unter diesem Link:

2019 haben wir einen neuen Antragsprozess und ein neues Formular für Vereinigungen geschaffen, die das CTN als Partner in europäische Projekte einbinden möchten. Auf diese Weise stellen wir sicher, dass das Netzwerk ausreichend Zeit hat, den Antrag vor der Entscheidung über die Teilnahme zu prüfen und vor der Einreichung bei der Förderorganisation inhaltliche Inputs bereitzustellen. Weitere Informationen finden Sie unter diesem Link.

Wir haben dies mit CF Europe abgestimmt, die einen ähnlichen Prozess implementiert haben.

Die HIT-CF-Europe-Studie

2019 haben fast 500 Personen mit seltenen Formen von CF an der ersten Phase des Projekts teilgenommen und dafür rektale Biopsien gespendet. Diese Biopsien werden im Labor gezüchtet, um Organoide zu bilden. Im Jahr 2020 untersuchen die Teams, welche Organoide auf Medikamente im Labor ansprechen. Für 2020 sind klinische Studien geplant, um zu sehen, ob an DF erkrankte Personen so auf Medikamente ansprechen, wie es die Organoid-Labortests vorhergesagt haben.

Die Europäische Kommission (über H2020) finanziert eine klinische Studie mit dem Orphan-Medikament OligoG CF-5/20 bei CF.

In der ersten Jahreshälfte 2018 hat das CTN das klinische Studienprotokoll geprüft und eine Machbarkeitsstudie durchgeführt, um CF-Zentren für diese Studie zu finden.

Das Team hat die behördlichen Genehmigungen aus Österreich, Großbritannien, Deutschland und Irland sowie die Ethikgenehmigungen aus Österreich und Großbritannien erhalten. Die Ethikgenehmigungen aus Deutschland und Irland sollten 2020 folgen, um 2020 mit der klinischen Studie fortfahren zu können.

Europäische Forschungsprojekte

ECFS-CTN ist an mehreren laufenden EU-Projekten beteiligt

Kollaboratives Netzwerk für europäische klinische Studien für Kinder

c4c ermöglicht durch den Aufbau eines europäischen Netzwerks für pädiatrische klinische Studien (bei allen Krankheiten, nicht nur bei CF) die Entwicklung neuer und sicherer Medikamente für Kinder. Unsere Rolle in diesem Großprojekt betrifft das Arbeitspaket Bildung. Wir haben pädiatrische klinische Studienzentren in ganz Europa zu ihrem Bedarf an Schulungen für pädiatrische klinische Studien befragt und dabei geholfen, einige allgemeine Schulungsmaterialien für klinische Studien zu überarbeiten, um sie an pädiatrische Studien anzupassen.

Wir helfen ebenfalls bei der Erstellung von Schulungen für die bevorstehende cASPerCF-Studie zur Untersuchung der Aspergillus-Behandlung bei Kindern mit CF. Diese Studie wurde von c4c als Teil des Forschungsportfolios ausgewählt und wird innerhalb der neuen c4c-Infrastruktur durchgeführt

https://www.imi.europa.eu/

https://conect4children.org/

Europäisches Referenznetzwerk LUNG

Im November 2018 haben wir ein Webinar für die Mitglieder von ERN-Lung abgehalten, um unsere Expertise beim Aufbau und erfolgreichen Betrieb eines Netzwerks für klinische Studien zu teilen. Fünf Mitglieder des CTN haben an diesem Webinar teilgenommen, und wir haben ein begeistertes Feedback erhalten.

Sie können sich das Webinar hier ansehen:
https://www.youtube.com/watch?v=43hcJnl2PUc

Finanzbericht 2019

Unser Budget

Darstellung des Buchhaltungsjahrs 1. Jan. – 31. Dez. 2019:

CTN - Budget 2019	Euro €
Zuschuss ECFS	100,000
Nationale CF-Vereinigungen	113,749
Unternehmensdienstleistungen	174,019
LCI	37,637
Sonstige Einnahmen	3,499
Gesamt Einnahmen	428,904
Reisen / Meetings	26,969
Personalkosten	335,972
Computer & Software/ Bürobedarf	1,050
Veröffentlichungen	2,103
Telekommunikation	345
Schulung - Forschungskoordinatoren Support	8,155
Software Entwicklung / Wartung	5,329
Dedizierter Server	10,268
IIT - TORPEDO	4,145
Diverse	67
Gesamt Ausgaben	336,566
*Vorfinanzierung Abteilung Löwen	90,659
Jahresergebnis	1,679

* Erstattung von Personalkosten, die das Jahr 2018 betreffen

CFF-Zuschuss für zusätzliche Forschungskapazität („ARC“)

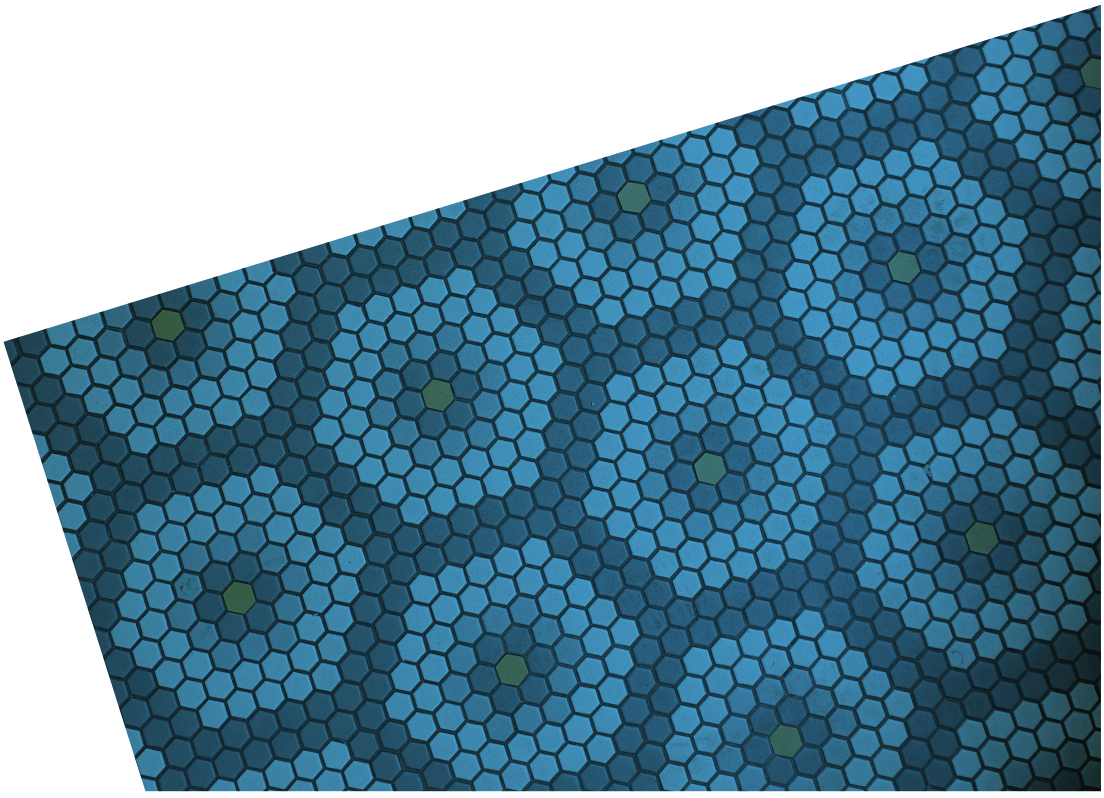
Wir danken der US-amerikanischen Cystic Fibrosis Foundation für die finanzielle Unterstützung, die dem ECFS-CTN für den Zeitraum 2017-2019 gewährt wurde:

1. Teilfinanzierung zur Einstellung von zusätzlichem Forschungspersonal für maximal 22 ausgewählte Standorte

2. Finanzierung eines Administrators im CTN-Koordinierungszentrum

3. Unterstützung der Standorte bei der Dateneingabe in das Trial Management System (2600 € pro Jahr)

Im Jahr 2019 beträgt der Höchstbetrag für diesen Zuschuss 759.475 US$



Anhang

Vom ECFS-CTN unterstützte Studien im Jahr 2019

RESTORE CFTR FUNCTION

Phase-1b-Sicherheits- und Arzneimittelverhaltensprüfung der Kombinationsbehandlung von GLPG2451 und GLPG2222 mit oder ohne GLPG2737 bei Erwachsenen mit 1 oder 2 ΔF508-Mutationen (GLPG2737-CL-105)
Phase-1-Sicherheits- und Arzneimittelverhaltensprüfung von PTI-801 bei gesunden Freiwilligen und bei Erwachsenen mit CF (PTI-801-01)
Phase-1-Sicherheits- und Arzneimittelverhaltensprüfung von PTI-808 bei Erwachsenen mit und ohne CF (PTI-808-01)
Phase-3-Prüfung von VX-659 in Kombination mit Ivacaftor und Tezacaftor bei Patienten ab 12 Jahren mit der ΔF508-Mutation und einer minimalen Funktionsmutation (VX17-659-102)
Phase-3-Open-Label-Prüfung von VX-659 in Dreifachkombination mit Ivacaftor und Tezacaftor bei Patienten im Alter von 12 Jahren und älter mit 1 oder 2 ΔF508-Mutationen (VX17-659-105)
Phase-3-Open-Label-Erweiterungsbeobachtung der Langzeitbehandlung mit Tezacaftor in Kombination mit Ivacaftor bei Kindern im Alter von 6 Jahren und älter mit 1 oder 2 ΔF508-Mutationen (VX16-661-116; Hauptstudien: VX16-661-113 und VX16-661-115)
Langzeit-Rollover-Prüfung von VX-661 in Kombination mit Ivacaftor bei Patienten ab 12 Jahren mit 1 oder 2 ΔF508-Mutationen (VX14-661-110)
Phase-3-Prüfung von VX-445 in Kombination mit Ivacaftor und Tezacaftor bei Patienten ab 12 Jahren mit ΔF508-Mutation und einer minimalen Funktionsmutation (VX17-445-102)
Phase-3-Open-Label-Erweiterungsprüfung von VX-445 in Kombination mit Ivacaftor und Tezacaftor bei Patienten ab 12 Jahren mit 1 oder 2 ΔF508-Mutationen (VX17-445-105; Hauptstudien: VX17-445-102 und VX17-445-103)
Langzeit-Rollover-Prüfung von Orkambi (Lumacaftor/Ivacaftor) bei Patienten im Alter von 6 Jahren und älter mit 2 ΔF508-Mutationen (VX15-809-110)
Phase-2-Open-Label-Langzeitbeobachtung der Wirkung von Orkambi (Lumacaftor/Ivacaftor) auf das Fortschreiten der CF bei Kindern im Alter von 2-5 Jahren mit 2 ΔF508-Mutationen (VX16-809-121)
Phase-3-Prüfung von Ivacaftor bei Kindern mit CF im Alter von unter 2 Jahren mit einer Gating-Mutation (VX15-770-124)
Phase-3-Prüfung von Ivacaftor bei Kindern mit CF unter 2 Jahren mit einer Gating-Mutation (VX15-770-126)
Phase-2-Prüfung von VX-121 in Kombination mit Tezacaftor und Ivacaftor bei Erwachsenen mit CF mit einer ΔF508-Mutation und einer Minimalfunktionsmutation (VX17-121-001; PartD)
Phase-2-Prüfung von VX-121 in Kombination mit Tezacaftor und Ivacaftor bei Erwachsenen mit CF mit einer ΔF508-Mutation und einer Minimalfunktionsmutation oder zwei ΔF508-Mutationen (VX17-121-101)

Phase-2-Studie mit ELX-02 bei Personen ab 16 Jahren mit mindestens einer G542X-Nonsense-Mutation (EL-004)

Phase-3-Studie mit Elexacaftor (VX-445) in Dreifachkombination mit Tezacaftor und Ivacaftor bei Personen mit CF ab 12 Jahren mit einer ΔF508-Mutation und einer Gating- oder Restfunktionsmutation (VX18-445-104)

Phase-3-Studie mit Elexacaftor (VX-445) in Dreifachkombination mit Tezacaftor und Ivacaftor bei Personen mit CF im Alter von 12 Jahren und älter mit zwei ΔF508-Mutationen (VX18-445-109)

Phase-1- und Phase-2-Studie zur Untersuchung der Interaktion und des Verhaltens von FDL176 im Körper bei Erwachsenen mit CF, die zwei ΔF508-Mutationen aufweisen (FDL169-2018-10)

Phase-3-Studie zur Langzeitsicherheit von Elexacaftor (VX-445) in Dreifachkombination mit Tezacaftor und Ivacaftor bei Personen mit CF im Alter von 12 Jahren und älter, die zuvor an der Studie VX17-659-105 teilgenommen haben (VX18-445-113)

Phase-3-Studie mit Elexacaftor (VX-445) in Dreifachkombination mit Tezacaftor und Ivacaftor bei Personen mit CF im Alter von 6 bis 11 Jahren mit einer ΔF508-Mutation und einer Minimalfunktionsmutation oder zwei ΔF508-Mutationen (VX18-445-106)

A phase 2 study of ABBV-3067 alone and in combination with various doses of ABBV-2222 in adults with CF who have two ΔF508 mutations (M19-530)

ANTI-INFLAMMATORY

ANTI-INFECTIVE

Phase-2-Prüfung von Lenabasum bei Personen ab 12 Jahren mit kürzlich erfolgter Antibiotika-Behandlung bei Lungenexazerbation (JBT101-CF-002)

MUCOCILIARY CLEARANCE

Inhalierte hypertone Kochsalzlösung bei Vorschulkindern (UMC Erasmus SHIP-002)

Phase-2-Prüfung von inhaliertem SPX-101 (SPX-101-CF-201)

Phase-2-Studie von BI 1265162 zur Beseitigung von Schleim in den Atemwegen bei Erwachsenen und Jugendlichen mit CF (BI 1399-0003)

Clinical Trials Network

www.ecfs.eu/ctn
ecfs-ctn@uzleuven.be
Tel : +32-479 983839

www.ease-designers.com | global thinking