



Orientierung in klinischen Studien

Ein Leitfaden für Parkinson-Patienten
und ihre Familien



*„Heilmittel fallen
nicht einfach vom
Himmel. Wir müssen
hinaufklettern und sie
uns holen.“*

– Michael J. Fox

Inhaltsverzeichnis

02 *Ein Brief vom Patientenbeirat der Michael J. Fox Stiftung*

04 Sechs Fakten über die Teilnahme an klinischen Studien

07 *Kapitel 1*

Grundlagen der klinischen Forschung

Was ist eine klinische Studie, wer kann teilnehmen und was kann ich tun?

19 *Kapitel 2*

Die Teilnahme an einer klinischen Studie auf Ihrem Lebensweg mit Parkinson

Warum ist die Teilnahme von Parkinson-Patienten an klinischen Studien so wichtig?

29 *Kapitel 3*

Genetik und die klinische Erforschung von Parkinson

Was ist bei der Teilnahme an der genetischen Forschung zu erwarten und was ist vor einer genetischen Untersuchung zu beachten?

40 *Nachwort: Wie geht es weiter?*

Gedanken eines Studienteilnehmers

42 Anhang

46 Glossar

52 Danksagungen

54 Index

Ein Brief vom Patientenbeirat der Michael J. Fox Stiftung

Mit der Diagnose Parkinson geht jeder anders um. Manche können den Wunsch haben, etwas zu unternehmen. Doch herauszufinden, an wen man sich wenden und was man tun kann, ist oft schwer.

Für andere kann diese Diagnose Unsicherheit oder Angst auslösen. Es gibt keine falsche Reaktion auf solch eine lebensverändernde Nachricht – nur Ihre persönliche Antwort darauf. Als interessierte Patienten und Freunde des Patientenbeirats der Michael J. Fox Stiftung (MJFF) eint uns die Überzeugung, dass die Teilnahme an der klinischen Forschung eine Bereicherung ist. Sie motiviert, inspiriert und stärkt uns, während wir jeden Tag mit der Krankheit konfrontiert werden.

Wir haben alle einen anderen Weg zur Mitarbeit eingeschlagen. Während einige von uns von Anfang an etwas unternehmen wollten, brauchten die meisten mehr Zeit, um an diesen Punkt zu kommen. (Das ist auch völlig normal. Wir möchten auch anmerken, dass einige der wichtigsten Studien nur für diejenigen geeignet sind, die sich in einem sehr frühen Stadium der Krankheit befinden.) Zahlreiche Faktoren, wie das Alter bei Diagnose und Versorgungsmöglichkeiten vor Ort beeinflussten unsere Entscheidungen. Studien sind wiederum auf uns angewiesen und das aus den unterschiedlichsten Gründen. Einige Studien sind für Patienten geeignet, die gerade erst erkrankt sind, andere Studien für diejenigen, die seit Jahren mit der Krankheit leben. Manchmal können Patienten aufgrund ihres genetischen Status oder einer tiefen Hirnstimulation nicht teilnehmen. Ein andermal sind genau diese Kriterien für eine Studie erwünscht.

Wir hoffen, dass unsere Erfahrungen Ihnen helfen, Ihren eigenen Weg mit Parkinson zu finden und, noch wichtiger, Sie daran zu erinnern, dass Sie nicht allein sind.

Der richtige Arzt ist wichtig

Ich habe mehrere Monate gebraucht, um mich damit auseinander zu setzen, was die Diagnose für meine Zukunft bedeutete. Selbst dann war ich mir nicht ganz sicher, was mich erwartete. Ich erkannte, dass ich tun musste, was ich konnte, um mir selbst zu helfen und letztendlich auch anderen zu helfen, solange das noch möglich war. Aber ich wusste nicht, wo ich anfangen sollte. Mein örtlicher Neurologe empfahl einen Bewegungsstörungsspezialisten. Spezialisten für Bewegungsstörungen bilden eine Brücke zwischen Forschung und Patientenversorgung und haben oft guten Einblick in die aktuelle Forschung. Ich registrierte mich für meine erste Studie, nachdem ich mit dem Arzt meines Vertrauens gesprochen hatte. Diese Erfahrung hat mir Vertrauen, Hoffnung und Motivation gegeben. Jetzt nutze ich soziale Medien, um andere Parkinson-Patienten dazu zu ermutigen, sich mit Spezialisten für Bewegungsstörungen in Verbindung zu setzen und nach aktuellen Studien zu fragen. Einfach gesagt, gibt es nichts, was mehr ermutigt, als meinen Teil zur Forschung beizutragen.

Israel Robledo, Texas

Forschung kennt viele Formen

Als Arzt wusste ich, wie wichtig Forschung ist, um Krankheiten besser zu verstehen und therapeutische Erfolge zu erlangen. Ich habe meine Patienten oft dazu ermutigt, an klinischen Studien teilzunehmen, aber ich habe nie selbst daran teilgenommen. Ich war überzeugt, dass ich zu beschäftigt war, und ruhte mich jahrelang auf

Der Patientenbeirat der Michael J. Fox Stiftung berät die Stiftung in Bezug auf programmspezifische Strategien, um der Forschungsgemeinschaft und ihren Geldgebern die vorrangigen Bedürfnisse der Patienten am besten zu vermitteln: Inhalte und Schwerpunkte für die Aufklärung der Patienten sowie Reichweite im Hinblick auf unsere Mission, eine Heilung zu finden, dazu die Rolle der Patienten bei der Entwicklung neuer Forschungsmethoden und Mechanismen für die Folgenabschätzung.

dieser Entschuldigung aus. Nach und nach musste ich mir eingestehen: Ein bedeutsamer Beitrag erfordert nicht unbedingt anspruchsvolle, zeitaufwändige Studien. Es gibt viele Arten von Studien, manche sind zeitaufwändig, andere nicht. Mir wurde klar, dass sich mein Engagement im Laufe der Zeit ändern könnte, schließlich ändern sich auch mein Leben und Verpflichtungen. Seitdem habe ich an Online-Studien teilgenommen sowie an Studien, die nur einen einzigen Besuch in einer Klinik erfordern, und auch an einigen langfristigen Forschungsprojekten. Eines der wichtigsten Dinge, die Patienten jetzt tun können, ist seinen oder ihren Beitrag zu leisten. In einigen Studien muss z. B. nur eine Speichelprobe eingesendet werden. Wie auch immer, die Teilnahme an klinischen Studien ist von entscheidender Bedeutung. Forschung ist nur möglich, wenn Menschen bereit sind, ihren Teil beizutragen. Nur wir selber können unseren Lebensweg beeinflussen.

Soania Mathur, MD, Ontario

Mit Hilfe der Forschung der Krankheit den Kampf ansagen

Meine erste Reaktion auf meine Parkinson-Diagnose war, etwas dagegen zu tun. Ich stimmte noch am Tag der Diagnose zu, an einer klinischen Studie teilzunehmen. Ich wusste, dass nur die Entwicklung neuer Therapien das Fortschreiten der Krankheit verlangsamen oder stoppen könnte. Ich nehme weiterhin an so vielen Studien wie möglich teil und habe nicht vor aufzuhören. Es reizt mich, ganz dicht an der Forschung dran zu sein und mit den Wissenschaftlern zusammen zu arbeiten. Das gibt mir Energie. Es stimmt mich optimistisch, Fortschritte zu sehen und zu wissen, dass ich meinen Beitrag dazu geleistet habe. Ich kann den Einfluss meiner Teilnahme an etwas spüren, das für mich selbst und für jeden, der mit Parkinson lebt, so wichtig ist.

Lynn Hagerbrant, Connecticut

Veränderung persönlicher Perspektiven

Eine der größten Schwierigkeiten hinsichtlich der Krankheit hatte ich damit, dass Parkinson mit der Zeit immer schlimmer wird. Ich machte mir Sorgen um meine Zukunft, die Veränderung meiner Persönlichkeit und den möglichen Verlust meiner Unabhängigkeit. Ich als Forscher verstand die Bedeutung von klinischen Studien in der Behandlung von Krankheiten, aber ich war mir nicht sicher, ob ich auf dieser Seite der Studien sein wollte. Ich habe mich dann doch dazu entschlossen, und die Zusammenarbeit mit den Kollegen bestätigte mich in dieser Entscheidung schnell. Viele Studienleiter, die ich traf, hatten persönliche Gründe, auf diesem Gebiet zu forschen. Diese bringen sie dazu, Stunden im Labor zu verbringen oder Patienten zu versorgen. Dieser

Gedanke treibt meine Leidenschaft für die Forschung heute weiter an. Die Bekämpfung von Parkinson kann sich wie ein einsamer Kampf anfühlen, aber die Forschung verbindet uns. Die Verbindung zu den anderen Patienten der Parkinson-Gemeinschaft hat meinen Blick auf meine eigene Krankheit verändert.

Bryan Roberts, New York

Bewältigung logistischer Herausforderungen

Als mein Arzt mir sagte, dass meine zunehmenden Spasmen und Zitteranfälle durch Parkinson verursacht würden, sagte ich: „Okay. Und was heißt das jetzt?“ Ich habe in Google recherchiert und sehr informative, professionelle Websites entdeckt. Meine Recherchen haben aber auch Informationen über Chatrooms, Websites, Workshops, Konferenzen und Selbsthilfegruppen ergeben. Ich traute mich, mit anderen Patienten in Kontakt zu treten und traf viele Menschen mit Parkinson in verschiedenen Stadien ihrer Krankheit. Mit ihnen teilte ich den Wunsch, etwas zu bewegen, und stellte fest, dass die Teilnahme an einer klinischen Studie ein wichtiger Beitrag sein könnte. Als wir von der düsteren Statistik erfuhren, dass weniger als ein Patient pro Monat sich in einem klinischen Zentrum anmeldet, haben wir das Transportprogramm für klinische Studien ins Leben gerufen, um die Reise zu verschiedenen klinischen Studienzentren in der Region zu organisieren. Wir engagieren uns dafür, dass freiwillige Teilnehmer ihre Transport- oder Zugangsprobleme überwinden können. So hoffen wir, dass mehr Studien effizienter durchgeführt werden können und sich schließlich mehr Parkinson-Behandlungen durchführen lassen.

Steve DeWitte, Connecticut

Unser Einsatz für die Heilung der Parkinson-Krankheit verbindet uns, und das Wissen, dass wir gemeinsam etwas dagegen tun, gibt uns Kraft. Unsere Wege zur Beteiligung an klinischen Studien waren so individuell wie unsere Erfahrungen mit der Krankheit selbst, aber der rote Faden war der Wunsch, den Verlauf der Parkinson-Krankheit zu verändern und Leben zu verbessern – auch unser eigenes. Auch Sie sind ein wichtiger Teil dieser Gemeinschaft. Auch Sie sind in der Lage, Ihre eigene Zukunft und die Zukunft von Millionen Parkinson-Patienten direkt zu beeinflussen. Auch Sie können das enorme Potenzial der Forschung nutzen.

Sechs Fakten über die Teilnahme an klinischen Studien



Nr. 1

Patienten sind die wichtigsten Partner der Forschung

Sie sind der Experte für die Parkinson-Krankheit (Morbus Parkinson, MP). Wissenschaftler sind auf Ihre Beteiligung an Forschungsprüfungen und -studien angewiesen, um diese Krankheit zu verstehen, zu analysieren, vorherzusagen, zu verhindern, zu verlangsamen und schließlich zu stoppen. Jede Behandlungsmethode, die heute existiert, wurde durch die freiwillige Beteiligung von Einzelpersonen an der Forschung ermöglicht.



Nr. 2

Es gibt eine/mehrere für Sie geeignete Studie/n

Ungeachtet dessen, ob Sie erst kürzlich die Diagnose erhalten haben oder schon seit Jahrzehnten mit Parkinson leben, ob Sie sich einer tiefen Hirnstimulation unterzogen hatten oder ob Sie mehrere Stunden von einer Klinik entfernt wohnen: Sie können jederzeit dazu beitragen, dass wir Parkinson besser verstehen und neue Behandlungsmethoden entwickeln können. Aber auch wenn Sie nicht an Parkinson leiden, können Sie sich an der Parkinson-Forschung beteiligen.



Nr. 3

Nicht bei jeder Studie wird ein Medikament getestet

Viele Studien haben zum Ziel, Daten und Proben zu sammeln, die es ermöglichen, die biologischen Vorgänge bei der Parkinson-Krankheit besser zu verstehen. In einigen Prüfungen und Studien werden körperliche Aktivität, Physiotherapie oder andere nichtinvasive Behandlungen anstelle von Medikamenten getestet.



Nr. 4

Die Teilnahme birgt Risiken und Vorteile

Zwar gibt es einige Risiken, wie mögliche Nebenwirkungen eines neuen Medikaments, die zur Forschung dazu gehören. Die Teilnahme kann jedoch auch Vorteile bieten. Manche Patienten berichten, dass sie das Gefühl haben, ihre Krankheit besser kontrollieren zu können. Die Forschung könnte auch mehr Zeit mit Parkinson-Experten und den rechtzeitigen Zugang zu neuen Behandlungsmethoden bieten.



Nr. 5

Ihre Sicherheit hat höchste Priorität

Es gibt Sicherheitsvorkehrungen, um Risiken in Forschungsprüfungen und -studien so gering wie möglich zu halten. Die Forscher müssen alle Studienpläne und -materialien von einem externen Expertenausschuss genehmigen lassen und alle unerwünschten Veränderungen des Gesundheitszustandes einer Person – ob sie nun das Ergebnis der Studie sind oder durch etwas anderes hervorgerufen wurden – während des gesamten Forschungsverlaufs überwachen und melden.



Nr. 6

Es gibt viele Möglichkeiten, Prüfungen und Studien zu finden

Fragen Sie zunächst Ihren Arzt nach Möglichkeiten zur Teilnahme an Studien. Aber auch Ihre Selbsthilfegruppe oder Ihre Parkinson-Gemeinschaft können Ihnen Tipps dazu geben. Einige Gesundheitszentren und Patientenorganisationen führen persönliche Forschungsveranstaltungen durch. Zudem gibt es Möglichkeiten, sich über Studien im Internet zu informieren. Sie können sich online beim Fox Trial Finder der Stiftung anmelden (foxtrialfinder.org), um geeignete Studien zu finden, für die freiwillige Teilnehmer gesucht werden.



*„Wenn ein Heilmittel für Parkinson
gefunden wird – und das wird es – dann
weil wir alle dazu beigetragen haben.“*

Michael J. Fox

Kapitel 1

Grundlagen der klinischen Forschung

Bis nur ein neues Medikament vom ersten Geistesblitz im Labor bis in die Hände von Parkinson-Patienten gelangt, sind manchmal mehrere Jahrzehnte, Milliarden von Dollar und Tausende von Freiwilligen, Forschern und Ärzten erforderlich. Noch ehe eine Therapie bei Menschen erprobt werden kann, muss ihre Wirksamkeit und Sicherheit durch langjährige Grundlagenforschung und vorklinische Forschung nachgewiesen werden. Und die Wahrscheinlichkeit, dass eine Therapie all diese Überprüfungen besteht, ist sehr gering.

Wenn es ein Medikament doch in die Phase schafft, wo es am Menschen getestet wird, ist das ein Grund zur vorsichtigen Freude. Klinische Prüfungen und Studien sind ein letzter und entscheidender Schritt auf dem Weg zur Entwicklung besserer Behandlungsmethoden für Parkinson. Sie sind auch eine Gelegenheit für Freiwillige, einen Beitrag zu leisten. Neue Therapien können nur zugelassen werden, wenn sich ausreichend Parkinson-Patienten an der Prüfung beteiligen.

Die Michael J. Fox Stiftung (MJFF) unterstützt das Testen neuer Therapien bereits im frühen Entwicklungsstadium und befasst sich mit systemischen Herausforderungen im Zulassungsverfahren, damit mehr Parkinson-Medikamente schneller zugelassen werden können.

Zwar sind finanzielle Investitionen wichtig, um die Forschung zu beschleunigen. Die Teilnahme von freiwilligen Forschungsteilnehmern trägt jedoch in hohem Maße dazu bei, die Krankheit zu verstehen und Heilmethoden zu finden. In den 200 Jahren, seitdem die Parkinson-Krankheit (MP) zum ersten Mal beschrieben wurde, konnten Forscher sehr viel über sie herausfinden, indem sie beispielsweise nicht-motorische Begleitsymptome der Krankheit wie Stimmungs- und Gedächtnisprobleme untersucht und festgestellt haben, dass die Krankheit eine genetische Komponente hat. Diese Erkenntnisse haben die Pflege und die Forschung verändert.

Ohne klinische Studien und freiwillige Teilnehmer wäre keiner dieser Fortschritte möglich gewesen.

Durch Ihre Teilnahme an klinischen Studien leisten Sie einen wertvollen Beitrag. Finanzierung und andere Ressourcen sind nichts wert, wenn es nicht genügend Studienteilnehmer gibt – ein Problem, mit dem sich viele klinische Studien beschäftigen. 85 Prozent aller Studien sind von Verzögerungen betroffen, und 30 Prozent schaffen es gar nicht erst in die Startlöcher. Dies verlangsamt den Forschungsfortschritt enorm.

Sie können etwas verändern, indem Sie eine aktivere Rolle in Ihrer eigenen Gesundheitsversorgung übernehmen und zur Parkinson-Forschung beitragen. Es liegt in Ihrer Macht, der klinischen Forschung zu bahnbrechenden Erkenntnissen zu verhelfen und Parkinson-Patienten in ihrem Alltag zu helfen. Sie könnten der Schlüssel zur Heilung sein.

In diesem Kapitel lernen Sie die Grundlagen von klinischen Prüfungen und Studien kennen: wie sie durchgeführt werden, wer sich freiwillig melden kann und welche potenziellen Risiken und Vorteile sie haben. Sie erfahren auch, wie Sie Prüfungen und Studien finden können. Sprechen Sie mit Ihrem Arzt darüber, welche Forschungsprojekte es gibt und was Sie beachten sollten, wenn Sie sich für eine Teilnahme entscheiden.

Arten von klinischen Studien

Die vielen verschiedenen Arten von klinischen Studien lassen sich grob in zwei Hauptkategorien einteilen:

- + **Beobachtungsstudien** untersuchen keine Medikamente oder Behandlungen. Stattdessen untersuchen die Forscher den Gesundheitszustand der Teilnehmer und überwachen die Freiwilligen über einen bestimmten Zeitraum hinweg. Mit Beobachtungsstudien sammeln Forscher Daten, um zu verstehen, wie Parkinson beobachtet und behandelt werden kann und um den Krankheitsverlauf besser nachzuvollziehen. Zu der Teilnahme an Beobachtungsstudien kann der Besuch einer Klinik für Untersuchungen, Blutabnahmen oder Gehirnschans gehören. Andere Studien, wie zum Beispiel Fox Insight (foxinsight.org) der Michael J. Fox Stiftung, erfordern nur, dass Sie sich alle paar Monate auf Ihrem Computer oder Smartphone anmelden, um einen Fragebogen auszufüllen. (Siehe: „Eine technologische Revolution in der Forschung“, Seite 13.)
- + **Interventionsstudien** (auch „Interventionelle Studien“) untersuchen, ob ein Medikament oder eine andere Art von Therapie wirksam und sicher ist. Experimentelle Therapien können nicht nur Medikamente, sondern auch körperliche Aktivität, chirurgische Verfahren, Vitamine, Ergänzungsmittel und sogar komplementäre Therapien wie Akupunktur oder Meditation umfassen. Jede Studie hat ein eigenes Ziel und einen bestimmten Plan, den sogenannten Prüfplan, sodass der Freiwilligenaufwand von Studie zu Studie variiert.

Phasen interventioneller klinischer Studien

Die klinische Untersuchung einer neuen Therapie umfasst eine Abfolge von Phasen. Jede Phase beantwortet verschiedene Fragen und erfordert eine durchdachte Studie und eine neue Gruppe freiwilliger Teilnehmer:

- + **Phase-I-Studien** untersuchen mögliche Therapien, Verfahren oder Medikamente zum ersten Mal bei einer geringen Teilnehmerzahl (in der Regel etwa 10 bis 100). Oft gehören diese Freiwilligen zur „Kontrollgruppe“ – Menschen ohne Parkinson. Bei diesen Studien wird üblicherweise die Sicherheit einer neuen Therapie bewertet. Sie liefern auch häufig Informationen über Nebenwirkungen, die Wirksamkeit des Verabreichungsverfahrens (z. B. orale Einnahme, Injektion usw.) und geeignete Dosierungen. Die meisten Interventionsstudien dauern im Durchschnitt mehrere Monate, bei bestimmten chirurgischen Therapien können sie jedoch wesentlich länger dauern.

- + **Phase-II-Studien** bewerten die Sicherheit einer Behandlung umfassender und bestimmen die vorläufige Wirksamkeit und Nebenwirkungen bei einer größeren Gruppe von Menschen mit Parkinson (in der Regel einige Hundert). Sie können Monate bis zu einigen Jahren dauern.

Diese Studien sind in der Regel randomisierte, kontrollierte Studien. Dies bedeutet, dass eine Gruppe von Teilnehmern die experimentelle Behandlung erhält, während die andere (eine „Kontrollgruppe“) entweder den Behandlungsstandard oder ein Placebo (eine inaktive Substanz, die genau wie die Behandlung aussieht) erhält. Der Behandlungsstandard ist eine Behandlung, die von medizinischen Fachkräften weithin als die richtige Behandlung angesehen und eingesetzt wird. Wenn es keinen Behandlungsstandard gibt, verwenden die Forscher ein Placebo. Zum Beispiel gibt es für Parkinson derzeit keine krankheitsmodifizierenden Therapien (Medikamente, die das Fortschreiten der Krankheit verlangsamen oder stoppen). In Studien, in denen neue potenzielle krankheitsmodifizierende Therapien getestet werden, verwenden Forscher Placebos, um die Wirkung der Therapie zu vergleichen.

Die Teilnehmer werden den Gruppen nach einer Strategie zugeordnet, die praktisch gleichbedeutend mit dem Zufallsprinzip oder einem Münzwurf ist. Oft sind diese Studien auch „doppelblind“, was bedeutet, dass weder die Patienten noch das Forschungsteam wissen, wer die experimentelle Behandlung erhält.

- + **Phase-III-Studien** bestätigen oder widerlegen die Wirksamkeit, Sicherheit und Nebenwirkungen einer Therapie bei einer noch größeren Gruppe von Parkinson-Patienten (zwischen 200 und 2.000 Patienten, wobei Studien zur Prüfung chirurgischer Therapien kleiner sein können). Phase-III-Studien, die ebenfalls randomisiert und kontrolliert sind, dauern mehrere Jahre. Statt an einem Prüfzentrum werden Phase-III-Studien meist an mehreren Prüfzentren durchgeführt, d. h. die Ergebnisse von an vielen verschiedenen medizinischen Zentren teilnehmenden Freiwilligen werden zusammengefasst.

Damit eine Therapie zu Phase I und II übergehen kann, muss sie Sicherheits- und Wirksamkeitsstandards erfüllen. Wenn Phase-III-Studien diese Ergebnisse bestätigen, kann ein Arzneimittelhersteller einen Zulassungsantrag bei der Europäischen Arzneimittel-Agentur bzw. bei einer mit der US-amerikanischen Lebens- und Arzneimittelbehörde vergleichbaren Stelle oder einer anderen Regierungsstelle einreichen. Von dort aus kann der Überprüfungsprozess abhängig vom Protokoll der Behörde sechs bis 12 Monate oder länger dauern.

**Unterstrichene Wörter weisen auf einen häufig verwendeten Begriff hin. Die Definition dieser Begriffe finden Sie im Glossar ab Seite 46.*

Wurde ein Medikament genehmigt, kann es hergestellt und zu den Apotheken gesendet werden.

Sobald Therapien den Markt erreichen und von Ärzten sowie Patienten in der „realen Welt“ angewendet werden, führen Unternehmen klinische Phase-IV-Studien durch. Diese Studien bewerten in erster Linie langfristige Nebenwirkungen bei Personen, von denen bekannt ist, dass sie das Medikament einnehmen, sie können jedoch auch mögliche neue Verwendungen für die Therapie aufdecken, um andere Erkrankungen zu behandeln.

Der Prozess der klinischen Prüfung

+ Jede Studie unterliegt einem strengen Protokoll.

Jede Studie wird unter Einhaltung eines umfangreichen und sorgfältig überwachten Protokolls durchgeführt. Das Protokoll ist ein Plan, in dem der gesamte Studienverlauf niedergeschrieben ist. Unter anderem führt es auf, wie viele Freiwillige benötigt werden, wer geeignet ist, welche Untersuchungen für die Beurteilung der Gesundheit von Teilnehmern zu Beginn und während der Studie durchgeführt werden, wie lange die Studie dauern wird und welche Informationen dokumentiert werden. Ähnlich wie bei einem Team, das Sie medizinisch versorgt, führen Ärzte, Forscher, Pflegekräfte und Studienkoordinatoren klinische Prüfungen durch. Der Hauptprüfer, normalerweise ein Arzt, leitet das gesamte Team und die Studie.

- + Bevor Sie an der Studie teilnehmen können, werden Sie detailliert informiert und müssen eine **Patienteneinwilligung unterzeichnen**. Sie besprechen mit dem Studienteam vor Ihrer Aufnahme alle relevanten Aspekte des Protokolls, stellen Ihre Fragen und gehen gemeinsam ein Einwilligungsformular durch. Dieses Dokument, die sogenannte Patienteneinwilligung, führt Ihre Rechte als Freiwilliger auf, die möglichen Risiken einer Teilnahme, und was Sie während der Studie erwartet. Wenn Sie alle Inhalte der Studie verstanden haben, sich ausreichend informiert fühlen und teilnehmen möchten, unterzeichnen Sie diese Patienteneinwilligung. Es handelt sich hierbei nicht um einen verbindlichen Vertrag. Sie können jederzeit und ohne Angabe von Gründen zurücktreten. (Sie können außerdem Studienuntersuchungen oder -behandlungen ablehnen. Dies könnte allerdings dazu führen, dass Sie nicht weiter an der Studie teilnehmen dürfen.)

- + **Studien werden von unabhängigen Komitees geprüft und genehmigt.** Eine Ethikkommission (Institutional Review Board, IRB) – eine unabhängige Gruppe von Ärzten, Forschern und anderen (normalerweise mindestens eine Person, die nicht in

der Wissenschaft tätig ist und den Patienten vertritt) – bewertet und genehmigt jedes Studienprotokoll und alle Patienteneinwilligungen. Diese Kommission überwacht zudem laufende Studienaktivitäten. Aufgabe der Ethikkommission ist es, die Rechte der Studienteilnehmer zu schützen und für ihre Sicherheit zu sorgen.

Was geschieht am Ende einer Studie?

Ist eine klinische Studie abgeschlossen, analysiert das Studienteam die Daten, filtert zentrale Erkenntnisse heraus und veröffentlicht die Ergebnisse bzw. präsentiert sie anderen Forschern bei einer Konferenz. (Fragen Sie Ihr Studienteam und suchen Sie im Internet nach den veröffentlichten Ergebnissen.) Beim Abschluss der Studie legt das Team außerdem die nächsten Schritte der Therapie fest. Möglicherweise empfiehlt es eine Bewertung in der nächsten Phase der klinischen Prüfung oder, was ebenso wichtig ist, es rät von einer weiteren Studienteilnahme ab, da Sicherheits- und Wirksamkeitsdaten dagegen sprechen.

Personen, die in eine placebokontrollierte Studie aufgenommen wurden, fragen sich oft, ob Sie ein Placebo oder das Studienmedikament erhalten haben. Sofern das Studienprotokoll es erlaubt, werden diese Informationen zur Verfügung gestellt, wenn alle Teilnehmer die Studie abgeschlossen haben. Einige Teilnehmer möchten zudem wissen, ob sie ein Studienmedikament auch nach Abschluss einer Studie weiter einnehmen können. Oft ist dies nicht möglich. Studienprotokoll und Patienteneinwilligung legen aber im Voraus fest, wie gegebenenfalls vorgegangen werden soll. Falls die Therapie in die nächste Phase der klinischen Prüfung übergeht, erhalten Teilnehmer der vorhergehenden Phasen möglicherweise die Chance, das Präparat weiter anzuwenden. Eine Aufnahme in die nächste Studienphase ist jedoch aus verschiedenen Gründen kein Garant dafür, dass ein Patient das Studienmedikament weiter einnehmen kann. (Eine neue Studie kann zum Beispiel eine erneute Randomisierung erfordern.)

Die Rolle der öffentlichen Politik in der klinischen Forschung



Die Medikamentenentwicklung umfasst mehr als nur klinische Studien und Freiwillige. Es ist wichtig, über die öffentliche Politik – staatliche Gesetze und Verordnungen – auf dem Laufenden zu bleiben, da diese sich direkt darauf auswirken kann, wie Therapien vom Labor in die Apotheke gelangen und wie sie bewertet und zugelassen werden.

Einhaltung strenger Zulassungsstandards

In klinischen Studien werden potenzielle Therapien auf zwei wichtige Faktoren hin untersucht: Ist die Anwendung für die Patienten sicher und wirkt die Therapie tatsächlich? In die Erforschung dieser Fragen investieren Wissenschaftler viel Zeit und Geld. Am Ende einer klinischen Studie werden die Medikamente von der US-Behörde für Arzneimittel- und Lebensmittelsicherheit (Food and Drug Administration, FDA), von der Europäischen Arzneimittel-Agentur und von anderen Regierungsbehörden geprüft, um sicherzustellen, dass sie strenge Sicherheits- und Wirksamkeitsstandards erfüllen. Obwohl diese Behörden letztendlich die Entscheidung über die Zulassung eines Medikaments treffen, kann die öffentliche Politik Einfluss auf ihre Bewertungskriterien nehmen.

Arzneimittelhersteller darin bestärken, sich an den Bedürfnissen der Patienten zu orientieren

Personen mit Parkinson (MP) sind sich der fehlenden Möglichkeiten zur Behandlung verschiedener Symptome, wie etwa kognitiver Beeinträchtigungen, Gleichgewichtsstörungen und Verstopfung, bewusst. In den USA haben politische Entscheidungsträger Wege geschaffen, wichtige Medikamente schnell auf den Markt zu bringen und gleichzeitig die strikten Sicherheits- und Wirksamkeitsvorgaben der FDA zu erfüllen.

Der „Therapiedurchbruch-Status“ zum Beispiel ermöglicht es der FDA, die Entwicklung und

Prüfung einer Therapie zu beschleunigen, die im Vergleich zu anderen bereits verfügbaren Therapien möglicherweise eine erhebliche Verbesserung bietet. Nuplazid (Pimavanserin), das erste Medikament, das zur Behandlung von Halluzinationen und Wahnvorstellungen im Zusammenhang mit Parkinson zugelassen wurde, kam durch dieses Programm schneller auf den Markt. Bei bis zu 50 Prozent der Parkinson-Patienten treten diese Symptome zu einem bestimmten Zeitpunkt auf (bei längerer Krankheitsdauer, Demenz oder älteren Patienten treten sie häufiger auf), und zuvor waren keine zugelassenen Therapien verfügbar. Auf der Grundlage von vorläufigen Erkenntnissen verkürzte die FDA unter Einhaltung strenger Sicherheits- und Wirksamkeitsrichtlinien den Zeitplan für die Entwicklung und Prüfung der klinischen Nuplazid-Studien.

Sich ändernde Forschungstendenzen und -instrumente erkennen

Die Entwicklungspipeline für Parkinson-Medikamente umfasst ein breites Spektrum experimenteller Therapien. Dazu zählen Optionen gegen motorische und nicht motorische Symptome sowie verschiedene krankheitsmodifizierende Therapien (die ein Fortschreiten von Parkinson verlangsamen oder aufhalten könnten). Die derzeit geprüften Therapien umfassen alles von Antikörperinfusionen zur Klärung von Alpha-Synuclein (dem klebrigen Protein, das runde Einschlüsse im Gehirn von Menschen mit Parkinson bildet) über chirurgische Verfahren bis hin zu Medikamenten für Patienten mit spezifischen Genmutationen. Die Forschung entwickelt sich weiter, um besser auf die Bedürfnisse der Patienten einzugehen und neue Systeme und Technologien zu integrieren. Die Mitarbeiter der Zulassungsbehörden müssen die Bedürfnisse der Patienten kennen, genauso wie die neuesten Methoden, um diesen gerecht zu werden. Dazu zählen auch individuelle Studiendesigns und die richtigen Methoden, um deren Erfolg zu bewerten.

Ganz oben auf der Prioritätenliste stehen Therapien zur Minderung oder Vermeidung von Dyskinesie (unkontrollierte Bewegungen, die als Nebenwirkung bei der Langzeitanwendung von Parkinson-Medikamenten auftreten). Um aber die Wirksamkeit dieser Therapien gewährleisten zu können, muss diese im Rahmen von Studien geprüft werden. Da kein standardisierter Ansatz zur Bewertung von Dyskinesie vorhanden war, veranlasste die Michael J. Fox Stiftung die Entwicklung und Validierung einer Skala zur einheitlichen Bewertung von Dyskinesie (Unified Dyskinesia Rating Scale). Inzwischen ist dieses Instrument unter Klinikärzten, Forschern und Zulassungsverantwortlichen als Methode zur Bewertung des potenziellen Nutzens neuer Dyskinesie-Therapien weithin anerkannt.

Ein anderer Bereich, in dem wir alle zusammenarbeiten, ist die Genforschung. Klinische Studien zur Genetik von Parkinson stehen erst am Anfang und stellen einen Weg in Richtung Präzisionsmedizin dar. Da sich diese Forschung stetig weiterentwickelt, müssen Regierungsbehörden und Wissenschaftler die richtige Anzahl und Art der Teilnehmer (mit und ohne Genmutationen) für die einzelnen Studien bestimmen, um aussagekräftige Daten erheben zu können.

Politik und Forschung stützen sich ebenfalls auf die Technologie. Die mithilfe von Online-Studien und Smartphones erhobenen Daten können Wissenschaftlern helfen, sich ein umfassenderes Bild von einem Leben mit Parkinson zu machen. Tragbare Geräte erfassen, wie sich die Bewegung bei der Einnahme von Medikamenten in Echtzeit verändert. Regierungsbehörden müssen festlegen, inwiefern neue und bereits verfügbare Technologien in klinischen Studien eingesetzt werden können und welche Art von Daten damit erfasst werden können, um aussagekräftige Ergebnisse zu erhalten.

Wer kann an klinischen Prüfungen teilnehmen?

Da klinische Prüfungen sich unterscheiden, werden auch unterschiedliche Freiwillige benötigt. Immer gleich ist jedoch der konstante Bedarf an Teilnehmern mit und ohne Parkinson (MP). Einige dürfte es überraschen, dass Angehörige von Parkinson-Patienten sowie Personen ohne jegliche Verbindung zu dieser Erkrankung für den Fortschritt der Forschung genauso wichtig sind wie die Patienten selbst.

Personen mit Parkinson

Es gibt nicht nur eine Art von Parkinson. Jeder Patient leidet an seiner ganz eigenen Form der Erkrankung. Aus diesem Grund benötigen klinische Studien Probanden aus dem gesamten Parkinson-Spektrum, mit verschiedensten motorischen und nicht-motorischen Symptomen. Jede einzelne Person unterstützt dabei die Anstrengungen der Forscher, ein umfassenderes Bild der Erkrankung zu zeichnen und zielgerichtete Therapien zu entwickeln.

*Denken Sie an Fakt 1:
Patienten sind die wichtigsten Partner
der Forschung.*

In Interventionsstudien suchen Forscher Freiwillige, die repräsentativ sind für die Menschen, die die Therapie letztendlich auch außerhalb von Studien einsetzen werden: Frauen und Männer verschiedenen Alters und unterschiedlicher ethnischer Abstammung. Klinische Studien erfordern ein breites Teilnehmerspektrum, weil – neben der Einzigartigkeit von Parkinson – alle Betroffenen unterschiedlich auf die Behandlungsmethoden reagieren können. Wenn die Prüfer verschiedene Bevölkerungsschichten analysieren, können sie sicher sein, dass ihre Intervention für eine breitgefächerte Gruppe von Parkinson-Patienten sicher und wirksam ist.

In einigen Fällen kann es vorkommen, dass die Forscher spezifische Untergruppen von Parkinson-Patienten suchen. So treten zum

Beispiel manche mit Parkinson assoziierte Genmutationen bei Personen mit bestimmtem ethnischen Hintergrund häufiger auf, wie etwa bei Personen aschkenasisch-jüdischer oder nordafrikanisch-berberischer Abstammung. Bei der Untersuchung dieser Mutationen und Therapien ist es sinnvoll, zunächst die Personen dieser Abstammungen sowie ihre Familien näher zu untersuchen.

Personen ohne Parkinson

Studienteilnehmer, die nicht an Parkinson erkrankt sind, liefern der klinischen Forschung grundlegende Informationen. Sie werden häufig als „Freiwillige der Kontrollgruppe“ bezeichnet und können einen Beitrag sowohl zu Interventions- als auch zu Beobachtungsstudien leisten. In Studien der Phase I testen sie neue Therapien auf ihre Sicherheit. In Beobachtungsstudien können sie dem Studienteam helfen, „Nicht-Parkinson-Werte“ zu definieren, oder als Messlatte dienen, an der natürliche Veränderungen einer Parkinson-Erkrankung abgeglichen werden. Wenn Forscher die Freiwilligen der Kontrollgruppe und die Patienten nach Alter, Geschlecht und anderen Merkmalen abgleichen, können sie bewerten, ob Unterschiede bei Befragungen oder Untersuchungen (z. B. Bluttests, Hirnscans oder Gedächtnisskalen) auf Parkinson zurückzuführen sind.

Ein anderes Gebiet, auf dem Freiwillige für die Kontrollgruppe (insbesondere diejenigen, bei denen ein Familienmitglied an Parkinson erkrankt ist) einen Beitrag leisten können, ist die Genforschung. Studien vergleichen unter

Umständen die Gene von Familienmitgliedern mit und ohne Parkinson, um festzustellen, welche mit der Erkrankung verknüpft sind. Sie können auch Verwandte ersten Grades mit Parkinson-assoziierten Genmutationen untersuchen, um Einblicke in die Ursachen der Erkrankung, Risikofaktoren und potenzielle Schutzfaktoren zu erhalten. (Siehe „Kapitel 3: Genetik und die Erforschung von Parkinson“, S. 29.)

Unterschiedliche Studien benötigen unterschiedliche Freiwillige

Da Studien die verschiedenen Aspekte von Parkinson untersuchen, werden für jede einzelne bestimmte Arten von Teilnehmern gesucht. Zu Beginn erstellen die Forscher Richtlinien - bekannt als Einschluss- und Ausschlusskriterien - für diejenigen, die teilnehmen dürfen und nicht dürfen. Geeignete Freiwillige müssen die aufgeführten Voraussetzungen erfüllen (oder eben nicht). Diese können beispielsweise Alter, Geschlecht, Symptome, Krankheitsstadium, Medikation, andere Erkrankungen oder genetische Faktoren umfassen. Diese Checkliste soll niemanden generell von Studien fernhalten. Sie dient vielmehr dem Zweck, die richtigen Personen den richtigen Studien zuzuordnen und dem Studienteam Antworten auf ihre Fragen zu liefern. Auch soll sie Risiken minimieren. Mit Medikamenten behandelte Personen, bei denen Wechselwirkungen mit dem Studienmedikament nicht ausgeschlossen sind, dürfen zum Beispiel häufig nicht teilnehmen.



Angehörige durch Forschung unterstützen

Als bei Karen Jaffe Parkinson (MP) diagnostiziert wurde, suchte ihr Ehemann Marc nach einer Möglichkeit, ihr zu helfen. Er erfuhr, dass für Studien Freiwillige für die Kontrollgruppe gesucht wurden und wollte teilnehmen. „Ich wollte Karen mehr als nur emotionale Unterstützung bieten und dies war eine konkrete Möglichkeit“, so Marc.

Trotzdem nahm er diese Gelegenheit nicht sofort wahr. Er gibt zu, dass er Zweifel an bestimmten Studienverfahren hatte und sich Sorgen machte, dass die Untersuchungen möglicherweise gesundheitliche Probleme aufdecken würden.

Aber sechs Monate später machte Marc Karen ein unerwartetes Geschenk: seine Aufnahmedokumente für die Initiative zu Progressionsmarkern der Parkinsonkrankheit (Parkinson's Progression Markers Initiative; PPMI) der Michael J. Fox Stiftung (MJFF).

Im Scherz sagt Marc, dass er an der PPMI, einer Beobachtungsstudie für die Entdeckung von Biomarkern für Parkinson (objektive Messparameter für die Diagnose und Nachverfolgung der Erkrankung) teilnimmt, weil er kein Geburtstagsgeschenk hatte. „Als ich erfuhr, wie wichtig die Biomarker-Forschung ist, ließen sich meine Bedenken einfacher zerstreuen“, fügt er ernsthaft hinzu.

Im Rahmen der PPMI wird Marc nun jedes Jahr verschiedenen Untersuchungen unterzogen. Es wurden Fotos von seinem Gehirn gemacht und Blut und Rückenmarksflüssigkeit entnommen. Außerdem füllte er Fragebögen zu seinem Schlafverhalten aus und absolvierte einen Gedächtnistest. In all den Jahren seiner Studienteilnahme hat Marc keinen einzigen Termin versäumt. Die Verfahren wurden in verschiedenen Zentren mit verschiedenen Ärzten durchgeführt, und er sagt, dass das Personal sich immer viel Mühe gegeben hat, damit er sich wohl fühlt.

Marc nimmt noch an anderen Studien teil. Wenn er und Karen beide für eine Studie qualifiziert sind, nutzen sie die Gelegenheit, um gemeinsam zu den Terminen zu fahren. „Wir sehen so viele Fortschritte“, berichtet Marc. „Wenn man an einer Studie teilnimmt, bemerkt man die Veränderungen und sieht einen Hoffnungsschimmer. Es ist toll, Teil des Prozesses zu sein, der uns Hoffnung gibt.“

Eine technologische Revolution in der Forschung



Im 21. Jahrhundert beschleunigen technologische Innovationen die Parkinson-Forschung. Patienten mit Parkinson (MP) und Forscher profitieren dabei gleichermaßen von den neuen Instrumenten. Für Menschen mit Parkinson ist es jetzt einfacher, klinische Studien zu finden, an ihnen teilzunehmen und ihre Erfahrungen mit der Krankheit festzuhalten. Und mit den neuen Methoden zur Datenanalyse sind die Forscher in der Lage, ein umfassenderes Bild von Parkinson zu zeichnen als in der Vergangenheit.

Klinische Studien online verfügbar

Die weitverbreitete Verwendung des Internets eröffnet Parkinson-Patienten neue Möglichkeiten, an einer klinischen Studie teilzunehmen. Einige Studien werden heutzutage zu einem großen Teil oder vollständig online durchgeführt. Dies erleichtert vielen Menschen die Teilnahme bzw. macht sie überhaupt erst möglich: Personen, die weit von den häufig für Forschungszwecke genutzten wissenschaftlichen Zentren entfernt wohnen, die in ihrer Mobilität eingeschränkt sind, die bisher niemandem von ihrer Parkinson-Diagnose erzählt oder die einfach nicht viel Zeit haben.

So zum Beispiel befragt die Online-Studie der Michael J. Fox Stiftung (MJFF), Fox Insight (foxinsight.org), Parkinson-Patienten direkt zu ihrer Erfahrung mit der Krankheit. Alle 90 Tage loggen die Teilnehmer sich zu einer ihnen passenden Zeit ein und informieren die Forscher über ihre Symptome, Medikamente und andere Aspekte ihres Lebens mit Parkinson. Werden diese Daten als Ganzes analysiert, können die Wissenschaftler anhand dieser Informationen Erkenntnisse gewinnen, die zu einem besseren Verständnis der Erkrankung und zu neuen Therapien führen.

Nicht nur die Erweiterung des Umfangs und der Diversität der geeigneten Teilnehmer, sondern auch der Zugang über den Computer haben die

Teilnahme erleichtert. Ressourcen wie der Fox Trial Finder (foxtrialfinder.org) der MJFF, ein Online-Tool zum Abgleich klinischer Studien, erleichtern Freiwilligen die Suche nach den Studien, in denen sie als Teilnehmer benötigt werden. Dazu zählen auch die Studien, an denen sie von zu Hause aus teilnehmen können. Auch Facebook und andere soziale Medien sind mittlerweile eine Informationsquelle für klinische Studien.

Mobile Technologie übergibt Forschung an die Patienten

Bei einem typischen Praxisbesuch verbringt ein Arzt zwischen fünf und zehn Minuten mit der Untersuchung eines Parkinson-Patienten. Dies ist zwar wichtig für die Behandlung von Parkinson, aber angesichts der Variabilität der Symptome, die eine Person Tag für Tag und sogar während desselben Tages erfahren kann, ist es nur eine Momentaufnahme der Erkrankung.

Mit Smartphones, Apps und tragbaren Geräten (Wearables) wie Fitnessarmbändern können Parkinson-Patienten jetzt rund um die Uhr aufzeichnen, wie sie mit der Krankheit leben – ihre Symptome, Medikamente, Auswirkungen und Aktivität. Forscher nutzen diese Technologie in eigenständigen Versuchen und im Rahmen von klinischen Prüfungen, um Ihre Kenntnisse über potenzielle Interventionen zu ergänzen und bessere Möglichkeiten zu finden, Medikamente

anzupassen und den Krankheitsverlauf zu beobachten. Technologie bringt Forscher außerdem zu den Patienten. Telemedizin – elektronische Methoden zur interaktiven Kommunikation in Echtzeit, zum Beispiel Zweifach-Video – ermöglichen es Ärzten, mit Patienten zu sprechen und ihren Zustand zu bewerten, während sich diese zu Hause befinden.

Daten ermöglichen neue Erkenntnisse

Online-Studien und tragbare Geräte ermöglichen die Erfassung großer Datenmengen von Tausenden Personen mit und ohne Parkinson über einen langen Zeitraum. Diese umfangreichen Datensätze ermöglichen die Erkennung von Mustern, die konkrete Einblicke in Parkinson bieten – Informationen, die Forscher bisher nicht hatten. Dies bietet ein enormes Potenzial für die Entwicklung einer Heilmethode.

Weitere Informationen über die Ressourcen der MJFF zu Online-Studien finden Sie im Anhang, S. 42.



Weltweite Zusammenarbeit zur Beschleunigung von Studien

Ich war mein Leben lang völlig gesund. Als ich 44 war und bei mir Parkinson festgestellt wurde, war ich völlig überrascht. Als ich meine Diagnose akzeptiert hatte – ich glaube, Akzeptanz ist sehr wichtig, um weiterzumachen – ging es nur noch darum, was ich dagegen tun konnte. Ich fragte mich: „Will ich Clyde sein, der Parkinson hat, oder Clyde, der etwas gegen seine Parkinson-Krankheit tut?“ Ich entschied, dass ich mir, meiner Familie und den anderen zehntausenden Australiern mit Parkinson (MP) helfen wollte. Ich wusste, dass ich dieses Ziel am besten durch Forschung verwirklichen konnte, aber ich hatte nicht die notwendigen Instrumente, um mich einbringen zu können.

Aus einem vor kurzem mit „Parkinson“ diagnostizierten Patienten wurde ein Forschungsförderer, der eine Organisation mit dem Namen „Shake It Up Australia Foundation“ gründete. Obwohl mir jeglicher medizinischer Hintergrund fehlte, lernte ich schnell, wie Forschung betrieben und finanziert wird. In Australien gab es gute Forscher, aber eine unzureichende Finanzierung. Aus diesem Grund bin ich eine Kooperation mit der Michael J. Fox Stiftung (MJFF) eingegangen, um ihre strategische Ausrichtung und das patientenorientierte Finanzierungsmodell zu uns zu bringen. Seit der Einführung der Shake It Up Australia Foundation im Jahr 2011 haben wir mehr als 6 Millionen

Dollar im Bereich der Parkinson-Forschung kofinanziert, was uns zum größten nichtstaatlichen Unterstützer des Landes macht.

Wir haben jedoch gemerkt, dass Finanzierung allein nicht ausreicht und dass wir Freiwilligen die Studien näherbringen müssen, in denen sie als Teilnehmer benötigt werden. Wieder haben wir mit der MJFF zusammengearbeitet, um ihr Online-Tool zum Abgleich klinischer Studien, den Fox Trial Finder, auch in Australien verfügbar zu machen. Seit 2013 haben mehr als 2.000 Australier diese Ressource genutzt, um klinische Studien zu finden, die Teilnehmer suchen.

Wir machen Fortschritte bei unserer Suche nach Möglichkeiten, Parkinson zu verlangsamen, zu ändern und zu heilen. Ich plane eine bessere Zukunft, obwohl meine Zukunft mit Parkinson anders sein wird als meine Gegenwart. Ich bin fest davon überzeugt, dass es für jeden einen Weg gibt, einen Beitrag zu leisten, und dass die Ergebnisse unserer Beiträge in ihrer Gesamtheit schlussendlich zu einer Heilung führen werden.

Clyde Campbell ist Gründer der Shake It Up Australia Foundation. Er lebt mit seiner Frau und seinen drei Kindern in Sydney, Australien.

Wie kann ich mich an der Parkinson-Forschung beteiligen?

Wenn Sie über eine Teilnahme an einer klinischen Studie nachdenken, müssen Sie die potenziellen Vorteile und Risiken abwägen – genauso als würden Sie aufgrund Ihrer Parkinson-Symptome ein neues Medikament erhalten oder eine Operation in Betracht ziehen. Bei jeder Entscheidung, die Sie im Leben treffen, müssen Sie sicherstellen, dass die Vorteile die Nachteile überwiegen.

Die Teilnahme an einer Forschungsstudie kann den Zugang zu Parkinson-Experten und den neuesten Behandlungsmethoden ermöglichen. Sie kann für Sie aber auch Risiken, Nebenwirkungen oder Unannehmlichkeiten mit sich bringen. Besprechen Sie Ihre Gedanken im Hinblick auf die Forschung mit Ihrer Familie und Ihrem Arzt. Sprechen Sie außerdem mit Ihrem Studienteam über die Voraussetzungen für eine bestimmte Studie. Ihr Arzt hilft Ihnen, zu entscheiden, welche Art von Forschung für Ihre individuelle Situation am ehesten in Betracht kommt.

Wägen Sie potenzielle Vorteile und Risiken ab

Möglicherweise hilft es Ihnen, allgemeine und studienspezifische Vor- und Nachteile zu notieren. Personen mit Parkinson nennen als Vorteile einer Studienteilnahme häufig folgende Punkte:

- + Sie wirken aktiv an der eigenen Behandlung mit.
- + Sie bringen die Wissenschaft für sich selbst, andere in der Parkinson-Gemeinschaft und zukünftige Generationen voran.
- + Sie haben Zugang zu vielversprechenden neuen Therapien, die außerhalb der klinischen Forschung nicht erhältlich sind.
- + Sie arbeiten mit Parkinson-Experten zusammen, häufig in führenden medizinischen Einrichtungen.
- + Sie nehmen bei den neuesten Therapien und Forschungen eine führende Rolle ein.

Generell umfassen Risiken einer Studie, bei der neue Behandlungsformen untersucht werden, mögliche Nebenwirkungen oder unerwünschte Ereignisse. Während der Patientenaufklärung werden Sie über die studienspezifischen Risiken informiert. Es werden Sicherheitsvorkehrungen getroffen, um schwere Nebenwirkungen zu minimieren;

diese sind jedoch in einigen Studien möglich. Weitere potenzielle Nachteile einer Studienteilnahme sind unter anderem:

- + kein Nutzen durch eine Prüfbehandlung,
- + keine Möglichkeit, die Behandlungsgruppe zu wählen (Behandlung oder Placebo), der Sie in einer randomisierten Studie zugeteilt werden,
- + Kosten, die Ihre Versicherung nicht trägt, oder
- + häufigere Besuche eines Prüfzentrums oder eines Krankenhauses.

Wenn Sie die mit bestimmten Studien verbundene Zeit und Mühe abschreckt, denken Sie daran, dass es viele verschiedene Studien gibt, die ein unterschiedliches Maß an Engagement erfordern. Eine Online-Studie oder eine Studie, die nur einen einzigen persönlichen Besuch erfordert, eignet sich möglicherweise besser.

Informieren Sie sich über Parkinson-Studien

Wenn Sie eine Teilnahme in Betracht ziehen, sehen Sie sich die Studien an, für die Freiwillige gesucht werden. Sie haben zahlreiche Möglichkeiten, sich selbst über verfügbare Studien zu informieren:

- + Sprechen Sie Ihren Arzt auf klinische Forschungsprojekte an, die er oder seine Kollegen vielleicht leiten.

*Denken Sie an Fakt 6:
Es gibt viele Möglichkeiten,
Prüfungen und Studien zu finden.*

- + Fragen Sie andere Parkinson-Patienten, die bereits an Studien teilgenommen haben, nach ihren Erfahrungen.
- + Melden Sie sich bei Fox Trial Finder (foxtrialfinder.org) an, dem Online-Tool

der MJFF, bei dem geeignete Freiwillige klinischen Studien zugeordnet werden, die Teilnehmer suchen.

- + Besuchen Sie eine lokale Messe für klinische Studien, auf der Sie mehr über die verschiedenen in Ihrer Region durchgeführten Studien erfahren.
- + Suchen Sie auf www.clinicaltrials.gov, einer von der US-Behörde National Institutes of Health betriebenen Website, die Informationen über klinische Prüfungen und Studien in allen 50 Staaten der USA und in mehr als 200 Ländern bereithält.
- + Informieren Sie sich anhand der Websites und Ressourcen der MJFF und anderer Organisationen.

Sprechen Sie mit Ihrem Arzt

Ihr Arzt kennt Ihre medizinische Situation am besten. Daher ist es wichtig, sich seine Meinung zur Forschung anzuhören und sich bei ihm zu erkundigen, wie Sie teilnehmen können. Folgende Fragen möchten Sie möglicherweise nicht nur mit dem Studienteam, sondern auch mit Ihrem Arzt besprechen:

+ Kann ich mich weiterhin von meinem eigenen Arzt behandeln lassen?

Die kurze Antwort lautet: Ja. Auch wenn Sie im Rahmen der Studie Termine beim klinischen Forschungsteam wahrnehmen werden, entsprechen diese nicht Ihrer normalen medizinischen Versorgung. Die Parkinson-Ärzte, die Sie im Zusammenhang mit einer klinischen Studie aufsuchen werden, treffen keine Entscheidungen im Hinblick auf Ihre fortlaufende medizinische Versorgung und Ihre Parkinson-Behandlung. Sie können und sollten Ihre zuständigen Ärzte weiterhin aufsuchen. Diese sollten sich, sofern möglich, mit dem Studienteam absprechen, damit sie über Ihre Teilnahme immer auf dem Laufenden gehalten

werden. Besonders wichtig ist es für Ihren Parkinson-Arzt zu wissen, ob und wie Ihre Parkinson-Medikamente während Ihrer Studienteilnahme angepasst werden. Sollten Sie sich außerdem Untersuchungen unterziehen und die Ergebnisse erhalten, so sind diese möglicherweise auch für Ihre zuständigen Ärzte von Interesse.

+ Was ist mit Medikamenten, die ich einnehme, oder anderen Erkrankungen, die ich habe?

Studienprotokolle sowie Ein- und Ausschlusskriterien berücksichtigen Medikamente und Krankheiten, sodass die richtigen Personen für die richtigen Studien ausgewählt werden. Eine bestimmte Erkrankung, wie zum Beispiel Gedächtnisschwund, kann bedeuten, dass Sie für eine Studie ungeeignet sind. Für eine andere könnten Sie dagegen genau aus diesem Grund der richtige Teilnehmer sein. Forscher betrachten sorgfältig alle Erkrankungen, wie hohen Blutdruck oder Herzkrankheit, sowie die Medikamente, die dagegen angewendet werden. Sollte eine Studie ein zu großes Risiko für Sie darstellen, würden Sie von der Teilnahme daran ausgeschlossen. Auch passen die Studienteams Medikamente, die nicht mit Parkinson in Verbindung stehen, während einer Studie nicht an. Ihre Parkinson-Medikamente müssen im Rahmen der Studie jedoch möglicherweise angepasst werden. Darüber sollten Sie bereits im Voraus mit Ihrem Parkinson-Arzt sprechen.

+ Wie sieht es mit Versicherungsschutz und Kosten aus?

Mit einer klinischen Studie sind zwei Arten von Kosten verknüpft: die Standardversorgung des Patienten und die Forschung. Kosten für die Standardversorgung des Patienten hängen mit der Behandlung Ihrer Parkinson-Erkrankung zusammen – unabhängig davon, ob Sie Teilnehmer einer Studie sind oder nicht. Dazu zählen Arztbesuche, Medikamente, Laboruntersuchungen und Bildgebungsverfahren. Diese Kosten werden oft von den Krankenkassen übernommen. Forschungskosten – das Studienmedikament sowie Kosten für ausschließlich im Rahmen der Studie durchgeführte Laboruntersuchungen oder Bildgebungsverfahren – übernimmt die Versicherung für gewöhnlich nicht. Diese werden jedoch vom Geldgeber der Studie bezahlt. Kosten im Zusammenhang mit Problemen, die während einer Forschungsstudie möglicherweise auftreten, werden je nach Studie unterschiedlich gehandhabt. Über Versicherungsschutz und

Kosten sollten Sie ausführlich mit Ihrem Versicherer und dem Studienteam sprechen.

+ Was geschieht, wenn ich ein Placebo erhalte?

Einige Personen melden sich freiwillig für klinische Studien an, in der Hoffnung, ein neues Medikament zu erhalten. Leider können Sie sich die Gruppe, der Sie per Zufallsverfahren zugeordnet werden, nicht aussuchen. (Eine Zuweisung der Patienten durch Randomisierung stellt sicher, dass die Behandlungs- und die Placebogruppen vergleichbar sind. Das bedeutet, dass die Wissenschaft und die Mathematik hinter der Studie stärker sind.) Die möglichen Vorteile und Risiken neuer Therapien müssen gegen die Vorteile und Risiken abgewogen werden, die bestehen, wenn diese Therapie nicht angewandt wird (d. h. ein Placebo verabreicht wird). Die Personen, die in der Studie ein Placebo erhalten, spielen eine sehr wichtige Rolle. Sie helfen den Forschern, sicherzustellen, dass alle Auswirkungen – ob positiv oder negativ – durch die Behandlung und keinen anderen Faktor verursacht werden. Placebokontrollierte Studien bieten in der klinischen Forschung den höchsten Grad an wissenschaftlicher Evidenz für (oder gegen) Therapien. Erkundigen Sie sich danach, wie hoch die Wahrscheinlichkeit ist, dass Sie ein Placebo erhalten. In vielen Studien liegt sie nicht bei 50 Prozent, sondern es werden mehr Personen mit der experimentellen Therapie behandelt als mit Placebo.

+ Was geschieht, wenn ich die Studie verlassen möchte?

Ihre Teilnahme ist freiwillig. Das bedeutet, dass Sie die Studie jederzeit verlassen können – auch wenn Sie natürlich idealerweise bis zum Ende dabei bleiben sollten. Die Lebensumstände, Veränderungen der Gesundheit oder andere Faktoren können dazu beitragen, dass sich ein Teilnehmer für den Abbruch entscheidet. Dies ist jederzeit zulässig. Um offiziell aus einer Studie auszusteigen, müssten Sie das Studienteam informieren und ein spezielles Protokoll einhalten. Manchmal können Sie auch dann in einer Studie bleiben, wenn Sie die Einnahme des Studienmedikaments absetzen. Dies kann den Forschern helfen, auch weiterhin wertvolle Daten zu erfassen.

+ Wie soll ich entscheiden, ob ich an einer Studie teilnehmen sollte?

Letztendlich liegt die Entscheidung über eine Studienteilnahme bei Ihnen. Diese sollten Sie jedoch nicht alleine treffen. Fragen Sie Personen Ihres Vertrauens, zum Beispiel Ihren

Pflegepartner, Angehörige und Ihren Arzt, nach ihrer Meinung. Stellen Sie sicher, dass das Studienteam alle Ihre Fragen beantwortet, damit Sie eine fundierte Entscheidung treffen können. Berücksichtigen Sie bei speziellen Studien die folgenden Fragen:

- + Was ist das Ziel dieser Studie?
- + Um welche Intervention geht es genau? Wenn es zum Beispiel um ein Medikament geht, wie oft am Tag muss ich Tabletten einnehmen?
- + Welche potenziellen Vorteile und Risiken gibt es? Wie lassen sich diese mit der Behandlung vergleichen, die ich derzeit erhalte?
- + Wie groß ist in einer interventionellen Studie die Wahrscheinlichkeit, dass ich der Placebogruppe zugeordnet werde?
- + Welche Arten von Nebenwirkungen könnten auftreten?
- + Wie könnte sich die Studie auf meinen Alltag auswirken? Wie oft muss ich mich mit dem Studienteam treffen und wie lange dauern diese Besuche?
- + Wo und wann erfolgen die Untersuchungen?
- + Welche Arten von Informationen werden erfasst?
- + Muss mich ein Pflegepartner oder eine andere Person zu den Besuchen vor Ort begleiten?
- + Muss ich im Krankenhaus bleiben?
- + Werden meine Ausgaben erstattet?
- + Wie lange dauert die Studie?
- + Muss ich meine Parkinson-Medikamente absetzen oder meine Dosis ändern?
- + Kann ich die Behandlung nach Ende der Studie fortsetzen, wenn sie bei mir wirkt?
- + Was geschieht, wenn ich nicht mehr teilnehmen möchte?

Wahrscheinlich fallen Ihnen noch viele weitere Fragen ein, die sich speziell auf Ihre Situation oder die jeweilige Studie beziehen. Nehmen Sie sich Zeit, die benötigten Informationen einzuholen, damit Sie sich in Bezug auf Ihre Entscheidung für eine Teilnahme an der Parkinson-Forschung sicher sind.



Ohne Forschung wird es keine Heilung geben

Ich könnte keine Medizin praktizieren, ohne zu forschen. Ich sehe, dass Menschen, die seit 20 oder 30 Jahren an Parkinson leiden, mit den Einschränkungen und Komplikationen derzeitiger Therapien leben müssen. Ich möchte Teil des Prozesses sein, durch den es die Patienten in Zukunft besser haben – mit dem Ziel, dass irgendwann niemand mehr an Parkinson leiden wird.

Genau das möchten Parkinson-Patienten: Heilung. Und dieses Ziel werden wir erreichen – so optimistisch bin ich –, allerdings nicht ohne Forschung und Freiwillige.

Ich erkläre allen, dass es für jeden die richtige Option gibt – eine Beobachtungs- oder eine Interventionsstudie, je nachdem, womit Freiwillige sich wohlfühlen. Möchten Sie an einer Phase-II-Studie mit Lumbalpunktion mitwirken? Vielleicht ja, vielleicht nein. Möchten Sie ein Formular ausfüllen, damit wir uns einige ökologische Wechselwirkungen genauer anschauen können? Warum nicht? Es gibt für jeden die passende Option.

Und jede Art von Teilnahme bringt Informationen. Die klinischen Prüfungen für neue Therapien sind natürlich wichtig, aber auch klinische Beobachtungen können einen hohen Stellenwert haben. Auch die kleinen Dinge zählen.

Es gibt unterschiedliche Beweggründe für die Teilnahme an einer Forschungsstudie. Mit einem meiner Patienten diskutiere ich immer wieder: Ist die Teilnahme an der Forschung selbstlos oder egoistisch? Es kann dem eigenen Zweck dienen, aber genauso helfen Sie anderen. Es ist eine der wenigen Gelegenheiten im Leben, bei denen Sie gleichzeitig egoistisch und selbstlos sein können. Wie oft können Sie das schon behaupten?

Dr. Susan Bressman ist Vorsitzende der Mirken-Abteilung und Professorin für Neurologie an der Icahn School of Medicine at Mount Sinai in New York City.



*„Wir können es nur dann
nicht, wenn wir es nicht tun.“*

Michael J. Fox

Kapitel 2

Die Teilnahme an einer klinischen Studie auf Ihrem Lebensweg mit Parkinson

Im Laufe Ihres Lebens mit Parkinson tun sich viele Möglichkeiten auf, um an Studien teilzunehmen. Egal, in welchem Stadium der Parkinson-Krankheit Sie sich gerade befinden, Sie können immer einen Beitrag leisten. Wenn Sie gerade erst die Diagnose erhalten haben und noch keine Medikamente einnehmen, sind Sie möglicherweise für Studien geeignet, in denen Therapien zur Verlangsamung der Krankheitsprogression untersucht werden. Vielleicht haben Sie in den letzten Jahren aber auch mehrere Medikamente gegen die Parkinson-Krankheit (MP) ausprobiert. In diesem Fall könnten Sie für Prüfarzte interessant sein, die untersuchen, wie sich vorhandene Therapien verbessern lassen. Wenn Sie an Dyskinesie, Gleichgewichtsstörungen oder Gedächtnisproblemen leiden, sind Sie möglicherweise in der Lage, neuen Therapien zur Behandlung dieser Symptome zum Durchbruch zu verhelfen.

Hunderte von Parkinson-Studien werden derzeit durchgeführt, und alle benötigen Freiwillige mit Parkinson. Einige konzentrieren sich auf Methoden zur Diagnose von Parkinson, andere auf die Behandlung des unerfüllten Bedarfs – Probleme wie Stürze und Demenz, für die es nur wenige zugelassene medizinische Konzepte gibt. Wiederum andere untersuchen neuartige Arzneimittel, die das Potenzial haben, den Krankheitsverlauf zu modifizieren. Präsenz- und Online-Studien bieten Personen mit einem breiten Symptomspektrum und verschiedensten Medikationen die Möglichkeit, sich stärker in die eigene Behandlung und in die Parkinson-Gemeinschaft einzubringen.

Eine Teilnahme ist jederzeit möglich. Einige Parkinson-Patienten nehmen im Laufe der Erkrankung an vielen verschiedenen Studien teil. Egal, wann oder warum

Sie sich als Freiwilliger melden, die Teilnahme an der Forschung ist eine Möglichkeit, aktiv nach Antworten zu suchen. Für die meisten ist die Teilnahme eine bereichernde und lohnende Erfahrung.

Die Forschung ist für jeden Aspekt von Parkinson von Bedeutung. In diesem Kapitel wird beschrieben, welche Arten klinischer Prüfungen und Studien für die unterschiedlichen Stadien Ihrer Parkinson-Krankheit verfügbar sind und warum jede einzelne wichtig ist.

Teilnahme an Studien in den ersten Jahren mit Parkinson

In den ersten Monaten und Jahren nach einer Parkinson-Diagnose können Sie sich sehr überfordert fühlen. Bei der Verarbeitung von Emotionen, der Frage, wohin Sie die Parkinson-Krankheit (MP) führen kann, und der Erwägung von Behandlungsmöglichkeiten, könnten Sie (wie viele andere) beschließen, Ihre Erkrankung an Parkinson geheim zu halten. Es überrascht kaum, dass nur wenige Betroffene in dieser Zeit über eine Teilnahme an klinischen Studien nachdenken. Bei einer so starken Belastung scheint die freiwillige Teilnahme an einer Studie nur eine untergeordnete Priorität zu haben.

Aber die Patienten können in den ersten Jahren nach ihrer Parkinson-Diagnose einen einmaligen Beitrag zur Forschung leisten. Außerdem bieten Ihnen klinische Studien möglicherweise Zugang zu aufkommenden neuen Therapien, Kontakt mit führenden Parkinson-Spezialisten und eine Gelegenheit, Ihre Gesundheit in die eigene Hand zu nehmen. Zu Beginn der Parkinson-Krankheit kann es sich anfühlen, als wäre das Leben auf den Kopf gestellt worden. Die Teilnahme an einer Studie kann dabei als Orientierungshilfe, als Kompass, dienen.

Progression von Parkinson aufhalten

Eine krankheitsmodifizierende Therapie – eine Therapie, die das Fortschreiten von Parkinson verlangsamen, aufhalten oder sogar umkehren würde – wäre für Parkinson-Patienten eine großartige Entdeckung. Mehrere Therapien mit diesem Potenzial werden bereits in klinischen Prüfungen untersucht bzw. stehen kurz davor. Für diese Arzneimittel wurde in Labor- und Populationsstudien nachgewiesen, dass sie die Progression verlangsamen oder

das Parkinson-Risiko senken können. Jetzt untersuchen Wissenschaftler ihre Sicherheit und Wirksamkeit.

Viele Prüfungen benötigen Teilnehmer, die erst vor Kurzem die Diagnose erhalten haben und häufig noch nicht mit Parkinson-Medikamenten behandelt wurden. (Forscher bezeichnen dies als De-novo-Parkinson.) Einige Studien lassen Patienten zu, die mit bestimmten Parkinson-Medikamenten behandelt werden. Jede Studie hat ihre eigenen Kriterien. Da viele Patienten sich in den ersten Jahren der Parkinson-Krankheit zurückhalten oder sich der Studien, die Freiwillige benötigen, nicht bewusst sind, haben diese Studien oft Schwierigkeiten, genügend Teilnehmer zu finden.

Dennoch sind Studien zu krankheitsmodifizierenden Therapien nicht für jeden geeignet. Aufgrund der Art oder Schwere der Symptome müssen einige Betroffene umgehend medikamentös behandelt werden. Andere fürchten, möglicherweise ein Placebo zu erhalten. (Viele Studien sind placebokontrolliert. Das bedeutet, eine Teilnehmergruppe nimmt ein Placebo ein, zum Vergleich mit der Gruppe, die mit dem Prüfpräparat behandelt wird.) So oder so können neu diagnostizierte Personen viele wertvolle Beiträge zur Parkinson-Forschung leisten.

Behandlung erster Symptome

Die Parkinson-Diagnose basiert auf den motorischen Leitsymptomen: Tremor, Steifheit und Langsamkeit der Bewegung. Andere nicht-motorische Symptome wie Depression und Verstopfung können sogar noch vor der Veränderung der Bewegungsabläufe auftreten. Es gibt viele klinische Studien, in denen Therapien zur Behandlung dieser Symptome – sowohl motorische als auch nicht-motorische – untersucht werden. In einigen klinischen Prüfungen werden keine neuen Arzneimittel untersucht.

*Denken Sie an Fakt 2:
Es gibt eine/mehrere für Sie geeignete Studie/n.*

So könnten Sie zum Beispiel an einer Bewegungsstudie für Fatigue oder an einer Studie zu kognitiver Verhaltenstherapie für Stimmungsschwankungen teilnehmen. Und nicht alle Studien für das Frühstadium von

Parkinson suchen Patienten, die noch nicht medikamentös behandelt werden. Zum Beispiel ist es für eine Studie von nicht-motorischen Symptomen nicht erforderlich, dass die Teilnehmer ihre Medikation gegen die motorischen Symptome verändern.

Erforschung von Krankheitsbeginn und Progression

Von Patienten im Parkinson-Frühstadium können die Wissenschaftler viel über die Erkrankung lernen. Wir müssen noch viel darüber lernen, warum und wie Parkinson entsteht. Dabei können kürzlich diagnostizierte Freiwillige helfen. Die Teilnahme an einer Studie über einen längeren Zeitraum ermöglicht den Forschern außerdem die Untersuchung der Parkinson-Progression. Diese Informationen können uns zeigen, wie wir den individuellen Krankheitsverlauf eines Patienten prognostizieren und neue Therapien entwickeln und testen können, um die Progression aufzuhalten.

Studien, die Informationen über den Krankheitsbeginn und die Progression hervorbringen und die keine neue Therapie testen, werden Beobachtungsstudien genannt, die es in verschiedenen Formen und in unterschiedlichem Umfang gibt. Wenn Sie an einer Beobachtungsstudie teilnehmen, wird bei Ihnen möglicherweise ein Gehirns scan durchgeführt. Dadurch können Änderungen festgestellt werden, die eine Diagnose und Nachverfolgung der Krankheitsprogression (d. h. Biomarker) ermöglichen. Füllen Sie Online-Fragebögen zu Ihren Symptomen aus, um festzustellen, wie sich Ihre Krankheit mit der Zeit verändert, oder nehmen Sie an einmaligen Befragungen teil, um zu erfahren, ob Sie bestimmten Risikofaktoren ausgesetzt waren. Alternativ können Sie Hautzellen abgeben, die Wissenschaftler in Dopaminzellen umwandeln, um Parkinson „in einer Schale“ zu untersuchen – eine andere Methode, um zu prüfen, was bei Parkinson nicht funktioniert (und um potenzielle Angriffspunkte für Medikamente zu identifizieren).

Bei einigen Beobachtungsstudien wird Hirngewebe entnommen, anhand dessen die Forscher Parkinson genauer untersuchen können. Während Ihnen so etwas wie eine Spende von Hirngewebe vielleicht erst später im Leben oder während Ihrer Parkinson-Erkrankung in den Sinn kommt,

können Menschen mit und ohne Parkinson dies jederzeit in Betracht ziehen. Wenn Hirngewebe mit Informationen über Ihre Symptome und Ihren Krankheitsverlauf in Verbindung gebracht wird, ist es für die Wissenschaftler häufig sogar noch nützlicher. Es ist also sinnvoll, bereits im frühen Stadium darüber nachzudenken. (Siehe „Spende von Hirngewebe an die Forschung“, S. 24.)

Optionen frühzeitig erkennen

Wenn bei Ihnen kürzlich Parkinson diagnostiziert wurde, sind für Sie unter Umständen Informationen über die Vorteile und Risiken einer Studienteilnahme und die Verfügbarkeit von Studien interessant, bevor Sie sich medikamentös behandeln lassen – insbesondere bei nur leichten Symptomen. Dann können Sie gut vorbereitet ein fundiertes Gespräch mit Ihrem Arzt führen und gemeinsam die für Sie beste Option erarbeiten.

*Denken Sie an Fakt 1:
Patienten sind die wichtigsten Partner der Forschung.*

Viele Ärzte, besonders, wenn sich ihre Praxis weit von den klinischen Studienzentren befindet, bringen möglicherweise eine Studienteilnahme nicht zur Sprache. In einer 2014 im Auftrag der Michael J. Fox Stiftung (MJFF) und dem Pharmaunternehmen AbbVie von Harris Poll durchgeführten Umfrage gab nur einer von zehn Ärzten an, dass er mit seinen Patienten über das Thema Forschung spricht. Diese Gespräche werden vielleicht aus Zeitnot nicht geführt, insbesondere wenn die Ärzte selbst sich in erster Linie auf die Behandlung und nicht auf die Forschung konzentrieren. Nichtsdestotrotz erklären Parkinson-Patienten, dass Sie sich an ihre Ärzte wenden, um Informationen über Forschung und Beteiligungsmöglichkeiten zu erhalten. Siehe „Kapitel 1: Grundlagen der klinischen Forschung“, S. 7, um Tipps für ein Gespräch mit Ihrem Arzt und Informationen über verfügbare Studien zu erhalten.

Nur wenn Sie Ihre Möglichkeiten frühzeitig kennen, können Sie eine fundierte Entscheidung treffen. Zu Beginn der Erkrankung – einer Zeit, die sehr anstrengend sein kann – bietet die Teilnahme an Forschungsprojekten eine Möglichkeit für Betroffene, die Oberhand über ihre Erkrankung zu behalten und etwas zu bewegen.



Der Parkinson-Diagnose ein wenig Sinn geben

Dan Kinel fing nur drei Monate nach seiner Parkinson-Diagnose an, sich an der Forschung zu beteiligen. Dies war eine unvorhergesehene Entscheidung.

Forschung war das letzte, was ihm in den Sinn gekommen wäre. Wie so viele Patienten mit neuer Diagnose tat Dan sich schwer, die potenziellen Auswirkungen von Parkinson auf sein Leben zu verstehen und zu akzeptieren. Er war Partner einer Rechtsanwaltskanzlei, hatte eine junge Familie und ein reges Sozialleben. „Gerade noch fühlte ich mich völlig gesund und plötzlich hatte ich Parkinson. Ich fiel in ein tiefes schwarzes Loch.“

Als zwei Freunde Dan zu einem Kurzurlaub nach New York City mitnahmen, um ihn aufzuheitern, fand er sich zufällig auf der von der MJFF veranstalteten Eröffnungsmesse für klinische Studien wieder. Bei dieser Veranstaltung, bei der Parkinson-Patienten über Studien informiert werden, für die Teilnehmer gesucht werden, hörte er von der dringenden Suche nach Freiwilligen – insbesondere den Personen, bei denen erst kürzlich die Diagnose erfolgte und die noch nicht medikamentös behandelt wurden. Durch diese Informationen fand Dan den Sinn, den er seit dem Tag seiner Diagnose gesucht hatte. Als er die Messe verließ, hatte er sich für zwei Studien angemeldet.

Seitdem hat Dan nicht aufgehört. In den letzten vier Jahren hat er an mehr als einem Dutzend Beobachtungs- und Interventionsstudien teilgenommen, sowohl persönlich als auch online. „Jede Studie, an der ich teilnehme, verändert meine Sichtweise“, erklärt er. „Ich nutze jede Gelegenheit, Fragen zu stellen, von den Forschern zu lernen und mir und anderen mit Parkinson zu helfen.“

Mittlerweile ist er außerdem ein Botschafter für die Forschung, der in seiner Gemeinde über die Bedeutung einer Beteiligung an klinischen Studien, den Bedarf an Freiwilligen und Möglichkeiten der Teilnahme informiert. Dan sagt, dass ihm sein Wirken an vorderster Front der Forschung Energie und Motivation verleiht. „Die Teilnahme an Forschungsprojekten verändert deine Sichtweise auf die Diagnose, die medizinischen Versorger und die Welt um dich herum. Du fühlst dich, als würdest du eine wichtige Rolle bei der Lösung eines Problems spielen, das Millionen von Menschen betrifft.“

Forschungsbeteiligung im späteren Stadium der Parkinson-Krankheit

Während einige klinische Prüfungen und Studien Teilnehmer suchen, die am Anfang des Krankheitsverlaufs stehen, benötigen viele andere Freiwillige, bei denen bereits vor einiger Zeit Parkinson festgestellt wurde. Patienten, die sich im mittelschweren oder fortgeschrittenen Stadium der Krankheit befinden, insbesondere diejenigen, bei denen chirurgische Eingriffe zur Behandlung der Krankheit durchgeführt wurden, sind unter Umständen für zahlreiche verschiedene Interventions- und Beobachtungsstudien geeignet.

*Denken Sie an Fakt 2:
Es gibt eine/mehrere für Sie geeignete Studie/n.*

Eine Teilnahme in einem späteren Krankheitsstadium kann jedoch mehr Unterstützung von Angehörigen und Behandlungspartnern erfordern. Sprechen Sie mit Ihrem Arzt und Ihrem Unterstützungsnetzwerk über für Sie geeignete Studien.

Untersuchung der Symptome in einem späteren Krankheitsstadium

Viele Aspekte der Parkinson-Krankheit (MP) können erst in einem späteren Stadium untersucht werden. Bestimmte Symptome – z. B. Demenz, Geh- und Gleichgewichtsprobleme sowie Dyskinesie (unkontrollierte Bewegungen) – treten hauptsächlich bei Personen mit mittelschwerem oder fortschreitendem Parkinson auf. Studien für ein besseres Verständnis dieser Aspekte von Parkinson und für die Untersuchung von Behandlungen, mit denen die Auswirkungen reduziert werden können (z. B. Medikamente, körperliche Aktivität, Physiotherapie) benötigen Freiwillige, die an den jeweiligen Symptomen leiden.

Auch Beobachtungsstudien suchen möglicherweise Patienten, die bereits seit längerem an Parkinson leiden. [Fox Insight](#), die Online-Studie der MJFF, erfasst Daten über Erfahrungen mit Parkinson in jeder Phase der Erkrankung. Die Weitergabe von Informationen über Ihr Leben mit fortschreitendem Parkinson kann den Forschern helfen, Ressourcen bereitzustellen, Studien zu gestalten und sich für neue Behandlungsmethoden einzusetzen.

Bestimmte Studien, in denen krankheitsmodifizierende Therapien bewertet werden, stehen auch Personen zur Verfügung, die seit mehreren Jahren an Parkinson leiden und mit Medikamenten behandelt werden.

Patienten nach einer THS und anderen chirurgischen Eingriffen

Eine häufig aufkommende Frage ist: „Kann ich auch noch an einer Studie teilnehmen, wenn bei mir eine tiefe Hirnstimulation (THS) durchgeführt wurde?“ Die kurze Antwort lautet: Ja – für jeden gibt es eine geeignete Studie. Einige Studien lassen jedoch keine Patienten zu, bei denen eine THS oder andere chirurgische Eingriffe am Gehirn vorgenommen wurden oder die bestimmte Medikamente einnehmen. Viele Studien benötigen jedoch Teilnehmer, die operiert wurden oder mehrere Behandlungen anwenden. Sehen Sie sich die Ein- und Ausschlusskriterien einer Studie an, um Ihre Eignung zu prüfen. Sprechen Sie außerdem mit Ihrem Arzt über die Auswirkungen

einer Studienteilnahme auf Ihre laufende Behandlung.

Fragen Sie Ihre Angehörigen um Rat

Parkinson in einem späteren Stadium kann Einschränkungen mit sich bringen und mehr Unterstützung von anderen erfordern. Dabei hat die freiwillige Teilnahme an der klinischen Forschung vielleicht nicht oberste Priorität. Auch sind sich Ärzte möglicherweise nicht der Möglichkeiten für eine Teilnahme bewusst. In einer 2014 von Harris Poll durchgeführten Befragung gaben nur 41 Prozent der Personen, die jemanden mit fortgeschrittenem Parkinson behandelten, an, dass sie diesen Patienten zur Teilnahme an einer Studie raten würden.

Für einen pflegenden Angehörigen kann es viel Zeit und Mühe bedeuten, die Teilnahme eines Angehörigen an einer Studie zu unterstützen. Es sollte dennoch berücksichtigt werden, dass es Studien mit unterschiedlichem Ausmaß an Beteiligung und hilfreiche Ressourcen gibt. Pflegende Angehörige könnten helfen, einen Online-Fragebogen auszufüllen. In den USA testen einige Studienzentren momentan einen Transferservice, z. B. Lyft, der Freiwillige zu den Studienbesuchen bringt.

Wenn Sie sich für die Teilnahme an einer Prüfung oder Studie entscheiden, kann Ihr Pflegepartner bei der Bewertung von Kosten und Vorteilen helfen. Für den Freiwilligen könnte es zeit- und kräfteraubend sein, an einer Studie teilzunehmen. Andererseits ist es eine Möglichkeit, neue Behandlungsmethoden zu testen und informative Gespräche mit Parkinson-Experten zu führen. Denken Sie daran, dass bei einigen Studien auch die Bedürfnisse von pflegenden Angehörigen berücksichtigt werden. Bei einer Studienteilnahme wird daher auch auf Aspekte außerhalb der Parkinson-Behandlung eingegangen.

Spende von Hirngewebe an die Forschung

Die Untersuchung des Gehirns von Personen, die mit der Parkinson-Krankheit leben, kann Forschern wertvolle Erkenntnisse liefern. Sie analysieren zum Beispiel das Hirngewebe, um die Auswirkungen von Parkinson zu verstehen und um zu ermitteln, wo Therapien ansetzen könnten. Es kann mehrere Hirnsponderprogramme in Ihrem Land geben. Einige setzen eine vorherige Einwilligung

und Besuche in einem Studienzentrum für regelmäßige Beurteilungen voraus.

*Denken Sie an Fakt 5:
Ihre Sicherheit hat höchste Priorität.*

Besprechen Sie diese Entscheidung mit Ihren Angehörigen und stellen Sie sicher, dass sie über Ihre Absichten im Klaren sind. Wenn Sie Ihrer Familie jetzt Ihre Wünsche mitteilen, können Sie ihnen helfen, Ihre Spende zu planen und zu koordinieren. Auch Ihr Arzt kann Ihnen bei der Beantwortung von Fragen helfen und den Kontakt zu einem Spenderprogramm herstellen.



Tanzen für die Wissenschaft

Vor zehn Jahren wurde bei Manny Torrijos Parkinson festgestellt. Seitdem beteiligt er sich regelmäßig an Studien. Im Laufe der Jahre hat er an zahlreichen verschiedenen Studien teilgenommen, von Online-Befragungen zu seinen nicht-motorischen Symptomen bis hin zur Untersuchung einer Therapie zur Linderung motorischer Symptome. Manny war sich dessen bewusst, dass jeder Parkinson-Fall einzigartig ist, und suchte gezielt nach für ihn geeigneten Methoden.

„Das Bewusstsein für meinen sich verändernden Körper hilft mir, meine eigene Strategie für eine fortdauernde Forschungsbeteiligung zu entwickeln“, erklärt Manny. Mit dem Fortschreiten der Parkinson-Erkrankung bemerkte er zunehmende Gleichgewichtsstörungen, eine gekrümmte Körperhaltung und Steifheit. Gleichgewichts- und Haltungsstörungen sind mit den derzeit verfügbaren Medikamenten nur schwer zu korrigieren. Aber Mannys Medikamente wirken ohnehin vielleicht nicht mehr so gut wie früher. Ihr Nutzen kann unregelmäßig oder kurzfristig sein.

Manny sieht seine Situation als eine Möglichkeit, der Forschung zu neuen und besseren Therapien zu verhelfen. Als er von einer Tanzstudie hörte, die auf viele seiner Symptome abzielte, meldete er sich umgehend an. Da er gerne tanzt und es mag, „sich so zu bewegen, wie es seinem Körper möglich ist“, ist dies

seine bevorzugte Art der Forschung. Er hat bereits an mehreren Studien zu verschiedenen Formen von Tanz sowohl für motorische als auch nicht-motorische Symptome teilgenommen.

Sich zu bewegen wird für ihn mittlerweile schwerer, aber das hält Manny nicht davon ab, Woche für Woche seinen Forschungsverpflichtungen nachzukommen. Er nimmt einfach ein paar Anpassungen vor, zum Beispiel plant er längere Anreisezeiten ein. Für ihn machen die positiven Gefühle, die er bei der Interaktion mit den Patienten und Forschern hat, die zusätzliche Mühe wett.

Mannys Einstellung zur Forschung: „Wenn wir uns alle darauf konzentrieren, was uns wichtig ist und nicht darauf, was mit uns nicht stimmt, merken wir, dass wir alle zur Heilung beitragen können. Es gibt Forschungsmöglichkeiten, die uns allen helfen, unser Leben zu bereichern.“ Parkinson-Patienten nehmen möglicherweise Veränderungen im Hinblick auf Bewegung, Emotion und Gedächtnis wahr. Tanzen hilft Manny, mit diesen Veränderungen umzugehen, und für ihn ist es laut eigener Aussage „das Nächstbeste nach einer Heilung“.



Forschungspartner

Als Steven Spencer vor 13 Jahren seine Parkinson-Diagnose erhielt, zögerte er nicht, sich als Teilnehmer einer klinischen Studie anzumelden. Und auch seine Frau Kae begleitete ihn bedenkenlos als Freiwillige für die Kontrollgruppe. Das Paar ist seit über 40 Jahren verheiratet und es gewohnt, Dinge gemeinsam zu tun: Gemeinsam lernten sie für Klausuren, arbeiteten als Sprachpathologen und erzogen ihre Kinder. Als die Parkinson-Krankheit (MP) in ihr Leben trat, war es für sie ganz selbstverständlich, auch gemeinsam einen Beitrag zur Forschung zu leisten.

Steven und Kae haben an mehreren Studien teilgenommen – an einigen gemeinsam, an einigen allein. Sie haben zum Beispiel von ihrem Wohnzimmer aus gemeinsam an der Online-Studie der Michael J. Fox Stiftung (MJFF), Fox Insight, teilgenommen. Steven füllt jedes Vierteljahr Fragebögen aus, um die Forscher über sein Leben mit Parkinson zu informieren. Kae beantwortet die gleichen Fragebögen als Freiwillige für die Kontrollgruppe. Andere Studien benötigen Kaes Unterstützung, so dass nur Steven teilnehmen kann – sie fährt ihn beispielsweise zu den Terminen und hilft ihm, sich im wissenschaftlichen Zentrum zurecht zu finden. Kae sieht das ebenfalls als ihren Beitrag: „Wir sind ein Team“, sagt sie überzeugt. „Wir ziehen das gemeinsam durch.“

Auch die tiefe Hirnstimulation (THS), der sich Steven vor drei Jahren unterzog, konnte das Paar davon nicht abbringen. Tatsächlich spornte die Therapie Steven möglicherweise noch mehr dazu an, die für ihn geeigneten Studien weiterzuverfolgen. Der Eingriff linderte seine Müdigkeit und seine motorischen Symptome. Aber wie bei allen Krankheiten oder Medikamenten machte ihn die THS zum geeigneten Kandidaten für einige Studien, während sie bei anderen Studien zu einem Ausschlusskriterium wurde.

Steven und Kaes Engagement für die Forschung geht über klinische Studien hinaus. Im Februar 2017 nahmen sie am öffentlichen Politikforum der MJFF in Washington D.C. teil. Dort trafen Sie auf 200 andere Pflegepartner und Parkinson-Patienten, um über Forschung, Arzneimittelentwicklung und medizinische Versorgung im Zusammenhang mit Parkinson zu informieren.

Kae schildert ihre Erfahrungen mit der Parkinson-Forschung wie folgt: „Es gibt Tausende, die an einer Heilmöglichkeit arbeiten und Tausende von Richtungen, die dabei eingeschlagen werden.“ „Es macht einen demütig, so viele Menschen daran arbeiten zu sehen und es gibt mir Kraft, zu wissen, dass wir ein Teil davon sind“, fügt sie hinzu.

Wichtigste Erkenntnisse

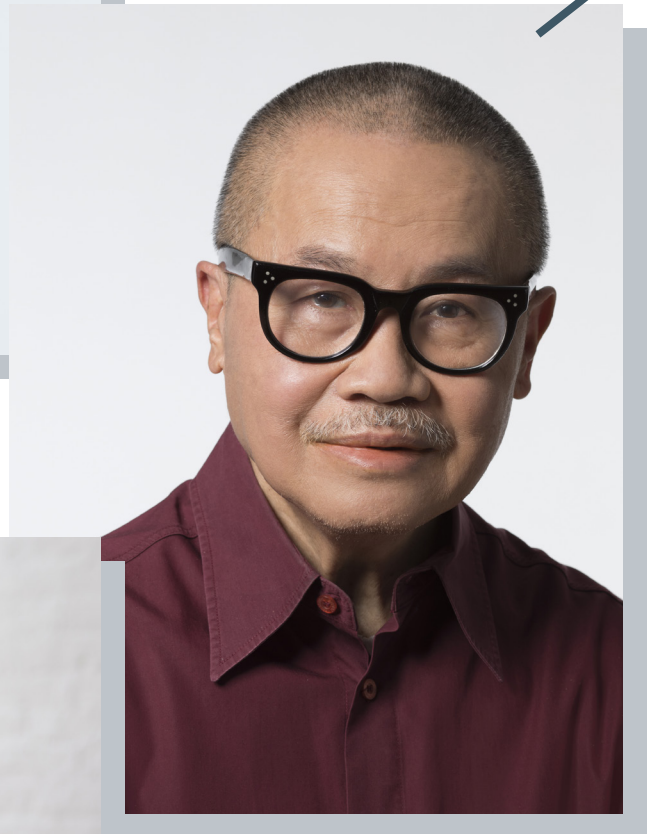
Die Teilnahme an einer klinischen Studie auf Ihrem Lebensweg mit Parkinson

Die Wissenschaft benötigt eine große Bandbreite an Studienteilnehmern. Dazu zählen nicht nur Frauen und Männer unterschiedlicher ethnischer Abstammung, sondern auch Patienten mit Parkinson in jedem Stadium. Egal, welche persönlichen Erfahrungen Sie mit Parkinson gemacht haben, es gibt immer eine Möglichkeit, zum besseren Verständnis und zur Weiterentwicklung von Behandlungsmöglichkeiten beizutragen.

+ **Es gibt Hunderte von Studien zu den zahlreichen Aspekten der Parkinson-Krankheit.** Unabhängig von Ihrer Situation oder Einstellung zur Forschung gibt es bestimmt eine für Sie geeignete Prüfung oder Studie. Sie können an Interventions- oder Beobachtungsstudien, persönlich oder online, einmal oder über viele Jahre hinweg teilnehmen.

+ **Verschiedene Prüfungen oder Studien können für Sie in verschiedenen Phasen Ihrer Parkinson-Krankheit geeignet sein.** Einige Arten von Studien sind zu unterschiedlichen Zeitpunkten der Erkrankung möglicherweise relevanter oder einfacher: krankheitsmodifizierende Therapien im Frühstadium von Parkinson, symptomatische später im Krankheitsverlauf oder Online-Studien, wenn Ihre Mobilität eingeschränkt ist.

+ **Erwägen Sie, Ihren Partner einzubeziehen.** Besprechen Sie alle Aspekte, bevor Sie an einer Prüfung oder Studie teilnehmen. Die freiwillige Teilnahme an einem Forschungsprojekt kann viel Zeit und Engagement von Angehörigen in Anspruch nehmen und vielleicht müssen sie auch selbst an einigen Studien teilnehmen. Dies gilt insbesondere, wenn die Parkinson-Krankheit vom mittelschweren ins fortgeschrittene Stadium übergeht.



*„Die Antwort liegt in
jedem von uns.“*

Michael J. Fox

Kapitel 3

Genetik und die Erforschung von Parkinson

Einige der wichtigsten Schritte bei der detaillierteren Erforschung von Parkinson (MP) und der Entwicklung neuer Therapien resultieren aus Fortschritten im Bereich der Genetik und werden von Personen möglich gemacht, die sich für klinische Studien zur Verfügung stellen.

Noch vor 20 Jahren waren die meisten Wissenschaftler der Ansicht, dass Parkinson vollständig von unbekannten Umweltfaktoren verursacht wurde. Dann entnahmen und analysierten Forscher DNA-Proben einer großen Familie, in der zahlreiche Mitglieder über mehrere Generationen an Parkinson erkrankten. In diesen Proben fanden die Forscher die ersten Gene (SNCA), die mit der Erkrankung in Verbindung stehen.

Dies war eine bahnbrechende Entdeckung, durch die eine genetische Verbindung zu Parkinson hergestellt werden konnte und die zu einem ganz neuen Verständnis führte: Die in den Gehirnzellen aller Parkinson-Patienten gefundenen runden Einschlüsse (die sogenannten Lewy-Körper) bestehen zu einem Großteil aus dem Protein Alpha-Synuclein, das wiederum aus dem SNCA-Gen besteht. Heute ist die Meinung weit verbreitet, dass Alpha-Synuclein für die Parkinson-Krankheit verantwortlich ist. In vielen Studien wird versucht, dieses Protein als eine Möglichkeit für die Diagnose und Nachverfolgung von Parkinson zu messen und Therapien zu entwickeln, die eine Progression verlangsamen oder aufhalten.

Diese Detektivarbeit eignet sich am besten, um Wissenslücken bei Parkinson zu schließen. Sie bringt die Parkinson-Forschung in einer Weise voran, die eine Veränderung der Medizin verspricht. Sie hilft, Ursachen zu entschlüsseln und die Entwicklung von Therapien zu steuern, die auf das Erbgut einer Person

abzielen. Auch hilft sie bei der Entwicklung von krankheitsmodifizierenden Medikamenten, die allen Menschen mit Parkinson zugute kommen könnten.

Heute konnten Dutzende von genetischen Mutationen mit einem erhöhten Risiko für Parkinson verknüpft werden, und Wissenschaftler verfolgen die Art und Weise, wie sie die Krankheit beeinflussen. Wir wissen, dass es trotzdem noch viel zu erforschen gibt.

Ohne eine große Bandbreite an Freiwilligen – Parkinson-Patienten, ihre Familienangehörigen und Personen ohne Parkinson – werden wir das Ziel nicht erreichen. Verglichen mit anderen Bereichen der klinischen Forschung müssen bei genetischen Studien vor einer Teilnahme eventuell einige weitere Aspekte berücksichtigt werden. Möglicherweise haben Sie Fragen zum Schutz Ihrer genetischen Informationen oder dazu, wie Sie Ihre genetischen Testergebnisse sinnvoll nutzen können. In diesem Kapitel erhalten Sie Informationen darüber, was die Teilnahme an der Genforschung für Sie bedeuten könnte.

Grundlagen der Parkinson-Genetik 101

Gene sind die Grundlage der Vererbung. Sie werden über Generationen hinweg von den Eltern an ihre Kinder weitergegeben. Diese ererbten DNA-Abschnitte bestimmen wer wir sind: sichtbare Merkmale wie etwa die Augenfarbe, aber auch unsichtbare Eigenschaften wie das Risiko, an einer Krankheit zu erkranken. Zwar haben wir alle die gleichen Gentypen, bei einigen Menschen jedoch sind Gensequenzen verändert. Dies wird als Genmutation bezeichnet.

Jeder Mensch erhält zwei Kopien des gleichen Gens, eine von jedem Elternteil. In einigen Fällen reicht eine Mutation in nur einer dieser Kopien aus, um das Parkinson-Risiko zu erhöhen. Diese werden als „dominante“ Mutationen bezeichnet. In anderen Fällen kommt es nur zu Parkinson, wenn beide Kopien betroffen sind. Dies sind die sogenannten „rezessiven“ Mutationen. Einige Mutationen verursachen Parkinson schon in jüngeren Jahren, andere jedoch rufen die Erkrankung im typischen Alter hervor. Und wiederum andere Mutationen können sich auf die Progression der Parkinson-Krankheit auswirken oder darauf, wie die Symptome auf Medikamente ansprechen. Die Wissenschaft ist kompliziert, aber Ihr Arzt und ein genetischer Berater (s. „Was ist ein genetischer Berater“, S. 37) können Ihnen helfen, sie besser zu verstehen.

Lange Zeit waren Wissenschaftler überzeugt, dass Parkinson nicht mit der Genetik in Zusammenhang stand. Die meisten Parkinson-

Patienten haben keine familiäre Vorgeschichte. Aber in den letzten beiden Jahrzehnten haben Forscher zahlreiche Genmutationen identifiziert, die bei Parkinson eine Rolle spielen. Diese Entdeckungen sind deshalb wichtig, weil sie uns einen Ausgangspunkt für die Untersuchung der Krankheitsbiologie bieten sowie für die Entwicklung von Behandlungsmethoden, mit denen die Progression verhindert oder aufgehalten werden kann.

Zwar fehlen uns immer noch etliche Informationen über die Genetik von Parkinson, aber einiges wissen wir mittlerweile.

Parkinson ist nicht unumgänglich

Die meisten mit der Parkinson-Krankheit assoziierten Genmutationen erhöhen das Risiko der betroffenen Person leicht. Sogar bei Personen mit starker risikobehafteter Mutation muss es nicht zu einer Parkinson-Erkrankung kommen. Anders ausgedrückt: Keine bekannte Mutation zieht mit hundertprozentiger Wahrscheinlichkeit eine Parkinson-Erkrankung nach sich. Die Forscher untersuchen symptomfreie Personen mit Mutationen, die mit Parkinson verknüpft sind. So sollen Schutzfaktoren identifiziert werden (genetische oder andere), die als Grundlage für Therapien zur Parkinson-Prävention eingesetzt werden könnten.

Bestimmte Parkinson-Mutationen treten in einigen Gruppen häufiger auf

Manche genetischen Mutationen sind in bestimmten Familien und ethnischen Gruppen häufiger vertreten. So sind zum Beispiel die folgenden drei Mutationen für die Forschung von großem Interesse:

- + **SNCA**: sehr seltene Mutation, die in Familien mit vielen Parkinson-Diagnosen entdeckt wurde.
- + **LRRK2**: häufiger bei Menschen von aschkenasisch-jüdischer, baskischer oder nordafrikanisch-berberischer Abstammung
- + **GBA**: relativ häufig bei Menschen von aschkenasisch-jüdischer Abstammung

Auch Menschen anderer Abstammung können diese Mutationen tragen; dennoch rekrutieren Forscher Teilnehmer für genetische Studien häufig aus diesen Populationen, da die Wahrscheinlichkeit höher ist, Träger der Mutation zu finden.

Die Art der Mutation kann Einfluss auf den Krankheitstyp haben

Eine Parkinson-Erkrankung verläuft für jeden Patienten anders. Selbst Menschen mit derselben genetischen Mutation erleben ihre Erkrankung unterschiedlich, etwa weil sie in einem unterschiedlichen Lebensalter die Diagnose erhalten. Es gibt jedoch einige

Trends. So entwickeln beispielsweise Menschen mit einem seltenen Typ der *GBA*-Mutation mit höherer Wahrscheinlichkeit eine kognitive Beeinträchtigung. Wissenschaftler untersuchen diese bekannten genetischen Zusammenhänge und suchen nach anderen Faktoren, seien sie nun genetisch, biologisch oder durch die Lebensweise bedingt, die einen Einfluss darauf haben könnten, wann und wie Menschen die Parkinson-Krankheit entwickeln.

Erbanlagen und Umwelt im Zusammenspiel können Parkinson verursachen

Während manche Fälle von Parkinson hauptsächlich auf genetische Mutationen zurückzuführen sind (zum Beispiel *SNCA*), gibt bei vielen Patienten ein Umweltfaktor (oder eine Kombination aus Faktoren) den Ausschlag. Ein bekannter Spruch besagt: „Die Gene laden die Waffe und die Umwelt drückt ab.“ So kann etwa ein Kontakt mit Pestiziden das Risiko erhöhen, an Parkinson zu erkranken. Studien haben herausgefunden, dass bei Menschen, bei denen nach einem Kontakt mit Pestiziden Parkinson auftritt, genetische Mutationen vorliegen, die die Art und Weise beeinflussen, wie der Körper diese Gifte verstoffwechselt. Genau diese Kombination aus genetisch bedingter Anfälligkeit und Umweltbelastung hat Auswirkungen auf das Krankheitsrisiko. Ebenso ist es möglich, dass Umweltfaktoren wie etwa eine gesunde Ernährung eine schützende Rolle spielen.

Genetische Mutationen erweitern unser Verständnis von Erkrankungen

In den Körperzellen regeln die Gene die Produktion von Proteinen; diese Moleküle entscheiden über viele Aspekte des Lebens, zum Beispiel wie wir aussehen und wie unsere Körper funktionieren. Genetische Mutationen können verändern, welche Mengen eines Proteins produziert werden oder wie es funktioniert. Daraus können letzten Endes Krankheiten wie zum Beispiel Parkinson entstehen. Wenn Forscher sich damit befassen, wie Veränderungen an Genen und Proteinen Erkrankungen auslösen,

gewinnen sie ein besseres Verständnis für die Entstehung von Parkinson und wie wir die Krankheit hoffentlich aufhalten oder sogar verhindern können. So wird beispielsweise davon ausgegangen, dass Mutationen in einem Gen namens *LRRK2* die Aktivität des *LRRK2*-Proteins erhöhen, was unserem Gehirn oder anderen Zellen schadet und Parkinson verursachen kann. Wissenschaftler entwickeln nun Medikamente, so genannte *LRRK2*-Inhibitoren, um diese *LRRK2*-Proteine zu blockieren und die Zellen gesund zu halten.

Das Erbgut könnte eines Tages über Ihre Behandlung entscheiden

Die Wissenschaft nimmt immer mehr Abstand davon, Krankheiten mit einem „Einheitsansatz“ zu bekämpfen. Vielleicht schon bald werden Ihre Gene dem Arzt verraten, welche Behandlung für Sie am besten ist. In aktuellen klinischen Studien wird bereits untersucht, ob Patienten mit genetischen Mutationen, die im Zusammenhang mit Parkinson stehen, von neuen Therapien profitieren könnten. Letzten Endes steigt die Erfolgswahrscheinlichkeit, wenn es gelingt, den Behandlungsplan auf die jeweils individuellen biologischen Gegebenheiten zuzuschneiden – in der so genannten Präzisionsmedizin.

Dabei kann es jedoch nur gelingen, Therapien aus dem Labor in die Apotheken zu bringen, wenn Tausende von Freiwilligen an klinischen Studien mitwirken. Bedenken Sie, wie weit wir in der Erforschung der genetischen Ursachen von Parkinson in so kurzer Zeit gekommen sind, und stellen Sie sich vor, wo wir mit Ihrer Hilfe in 20 Jahren sein könnten.

*„Dass ich an vorderster
Forschungsfront
stehe, beruhigt meine
Zukunftsängste und gibt
mir viel Hoffnung für mein
Leben mit Parkinson.“*

Eine Investition in die Forschung

Als Ofer die Diagnose Parkinson-Krankheit (MP) erhielt, wusste er bereits, dass er Träger einer genetischen Mutation war. Was er nicht wusste, war, dass diese Mutation seinen Parkinson erklären könnte.

Ofer hatte sich einem Gentest unterzogen, als er und seine Frau mit der Familiengründung begannen. (Manche genetischen Mutationen sind in bestimmten ethnischen Gruppen häufiger vertreten, und viele Menschen unterziehen sich vorgeburtlichen Untersuchungen, um herauszufinden, ob sie eine genetische Erkrankung an ihre Kinder weitergeben könnten.) Damals erfuhr Ofer, dass er Träger einer Mutation im Gen *GBA* war.

Zwanzig Jahre später bemerkte Ofer, dass sich seine Gangart veränderte: sein erstes Parkinson-Symptom. Zu diesem Zeitpunkt hatte die Forschung erkannt, dass manche genetischen Mutationen, darunter im Gen *GBA*, das Parkinson-Risiko des Trägers erhöhen.

Nach seiner Diagnose griff Ofer auf drei Jahrzehnte Investmenterfahrung zurück, um sein Wissen über die Krankheit und die medizinische Forschung systematisch zu erweitern. „Ich entwickelte eine neue Geisteshaltung“, erzählt er. „Ich beschloss, voll und ganz in das Thema einzutauchen.“

Dazu gehörte, dass er auch nach Möglichkeiten suchte, sich an der klinischen Forschung zu beteiligen, zunächst in Studien, die eine Spende von Blut- und Hautzellen benötigten. Darüber ergab sich seine Teilnahme an einem klinischen Versuch, mit dem erstmals ein Parkinson-Medikament getestet wurde, das auf *GBA*-Mutationen abzielt. „Dass ich an vorderster Forschungsfront stehe, beruhigt meine Zukunftsängste und gibt mir viel Hoffnung für mein Leben mit Parkinson“, sagt Ofer.

„Wenn man mit einer genetischen Mutation und einer Erkrankung lebt, denkt man viel über seine Kinder nach“, ergänzt er. „Unsere Kinder sind 17 bis 20 Jahre alt. Vielleicht bin ich naiv, aber ich denke gerne, dass es vielleicht gar keine große Sache mehr sein wird, wenn sie sich einmal auf *GBA*-Mutationen testen lassen und das Ergebnis positiv ist—und dass ich zu einem ganz kleinen Teil dazu beigetragen haben werde, weil ich mich heute an der Forschung beteilige.“

An genetischer Forschung teilnehmen

Was Sie erwarten können

Menschen mit der Parkinson-Krankheit (MP) wie auch ihre Angehörigen können eine entscheidende Rolle in der Suche nach einer Heilmethode spielen, wenn sie sich an der genetischen Forschung beteiligen. Und alle an Parkinson Erkrankten, nicht nur diejenigen mit einer genetischen Mutation, können von den Erkenntnissen der genetischen Forschung profitieren. Daher ist es wichtig zu verstehen, was mit genetischer Forschung verbunden ist, ob und wie sie einen Gentest beinhaltet und welche Vorteile und Risiken bestehen.

Alle können die genetische Forschung voranbringen

Ganz egal, ob Sie selbst an Parkinson erkrankt, Angehöriger eines Parkinson-Patienten oder Träger einer mit Parkinson assoziierten genetischen Mutation sind – Sie können uns helfen, auf den Durchbruch hinzuarbeiten. Wenn Forscher die Gene von Parkinson-Patienten, ihren Verwandten und von Freiwilligen der Kontrollgruppe untersuchen, können sie sich ein Bild machen, welche Gene eine Verbindung zu Parkinson haben, wie sie im Zusammenspiel mit anderen Genen und Umweltfaktoren die Krankheit auslösen (oder davor schützen), in welchem Zusammenhang sie mit bestimmten Symptomen und Verläufen stehen und wie sie modifiziert oder gezielt angesprochen werden könnten, um die Krankheit zu behandeln. Wenn Forscher große Populationen von Menschen mit und ohne Parkinson untersuchen, können sie außerdem bislang nicht entdeckte Mutationen aufspüren, die mit der Krankheit in Zusammenhang stehen.

Genetische Forschung versus Gentests

Eine Beteiligung an der genetischen Forschung ist nicht gleichbedeutend mit einem einfachen Gentest. In der Forschung werden DNA-Proben von Studienteilnehmern gesammelt und analysiert, um die Beantwortung einer wissenschaftlichen Frage zu ermöglichen. Wenn im Rahmen einer Forschungsstudie Gentests durchgeführt werden, dienen sie nicht notwendigerweise dem Ziel, Ihnen persönliche medizinische Informationen zu verschaffen; in manchen Studien erfahren Sie vielleicht nicht einmal Ihre Ergebnisse.

Jeder Studie liegt ein Protokoll zugrunde, in dem festgelegt ist, ob und wie die Teilnehmer die Ergebnisse ihres Gentests erhalten werden. Weshalb Studien die Daten von Einzelpersonen nicht weitergeben, kann unterschiedliche Gründe haben; oft liegt es daran, dass diese Informationen keinen direkten Einfluss auf die medizinische Versorgung oder andere Entscheidungen haben.

Die Art der Mutation kann Einfluss auf den Krankheitstyp haben

Eine Parkinson-Erkrankung verläuft für jeden Patienten anders. Selbst Menschen mit derselben genetischen Mutation erleben ihre Erkrankung unterschiedlich, etwa weil unterschiedliche Symptome auftreten. Es gibt jedoch einige Trends. Eine Mutation im Gen *PRKN* steht beispielsweise in Verbindung mit einer Frühform von Parkinson, also bei Menschen unter 50 Jahren. Wissenschaftler untersuchen diese bekannten genetischen Zusammenhänge und suchen nach anderen Faktoren, seien sie nun genetisch, biologisch oder durch die Lebensweise bedingt, die einen Einfluss darauf haben könnten, wann und wie Menschen die Parkinson-Krankheit entwickeln.

Gentests dienen hauptsächlich der Forschung, nicht der Behandlung

Derzeit werden Gentests für die Parkinson-Krankheit (MP) am häufigsten im Rahmen einer Forschungsstudie durchgeführt, da die Ergebnisse keinen Einfluss auf die medizinische Versorgung haben. Wenn Sie unter Parkinson leiden und erfahren, dass Sie Träger einer Mutation sind, sagt dies nicht unbedingt mehr über Ihre zukünftigen Symptome oder den Krankheitsverlauf, und dieses Wissen wirkt sich auch nicht auf Ihre Behandlung aus. Dies könnte sich in dem Maß ändern, wie Therapien, die auf bestimmte Mutationen ausgerichtet sind, den Parcours klinischer Studien durchlaufen. Und wenn Sie Ihren Status kennen, können Sie dadurch überhaupt erst in Kontakt mit genetischen Studien kommen.

Für diejenigen, die nicht an Parkinson erkrankt sind, ist die Interpretation eines Gentests vielleicht nicht ganz einfach. Ein positiver Test auf eine bestimmte Genmutation bedeutet nicht mit Sicherheit, dass Sie an Parkinson erkranken werden, und unterschiedliche Mutationen bergen ein jeweils unterschiedlich hohes Krankheitsrisiko. Andererseits sagt ein negativer Test nichts darüber aus, dass Sie Parkinson nicht bekommen werden. Es ist wahrscheinlich, dass viele Mutationen, die mit Parkinson in Zusammenhang stehen, noch gar

nicht entdeckt wurden. Und wir müssen noch viel darüber erfahren, wie Umweltfaktoren mit genetischen Gegebenheiten zusammenwirken, um das Parkinson-Risiko zu steigern oder zu senken. (Siehe „Grundlagen der Parkinson-Genetik“ auf S. 30.) Solange es keine Heilung für oder Vorbeugung gegen Parkinson gibt, möchten manche Menschen lieber nichts über ihr Erbgut erfahren. Andere, mit oder ohne Parkinson, nutzen dieses Wissen als Grundlage, um einen gesunden Lebensstil darauf abzustimmen und an bestimmten klinischen Versuchen teilzunehmen.

Die Menschen lassen aus den verschiedensten Gründen Gentests auch außerhalb von Forschungsstudien durchführen, entweder über ihren Arzt oder über einen Onlinedienst. Parkinson-Patienten möchten vielleicht herausbekommen, wie groß die Wahrscheinlichkeit ist, dass sie eine Mutation an ihre Kinder weitergeben; Angehörige eines Betroffenen könnten wissen wollen, wie hoch ihr eigenes Risiko ist. Manchmal gibt es auch gar keine Verbindung zu Parkinson und die Menschen möchten einfach nur aus Neugier mehr über ihr Erbgut erfahren.

Die genetische Forschung hat Vorteile und Risiken

Manche genetischen Studien befassen sich mit einem ganz bestimmten Gen, in anderen werden alle Ihre Gene sequenziert, also Ihr gesamtes Erbgut (das Genom). Für eine Teilnahme reicht es oft, eine Blut- oder Speichelprobe abzugeben, was manchmal sogar zu Hause erfolgen kann. Falls das Studienteam zur Ergänzung weitere Informationen benötigt, werden Sie eventuell telefonisch befragt, von einem Arzt untersucht oder es werden andere Labortests oder bildgebende Verfahren durchgeführt. In Vorbereitung auf Ihre Patienteneinwilligung wird genau besprochen, was geplant ist, etwa wie Ihre Erbinformationen gesammelt und gespeichert werden und ob Ihre Proben genetischen Materials für weitere Forschungszwecke genutzt werden dürfen. Außerdem werden die möglichen Risiken und Vorteile einer Teilnahme durchgesprochen. Sie erfahren, ob Ihnen die Ergebnisse des Gentests mitgeteilt werden und Sie Zugang zu einer genetischen

Beratung erhalten, um diese Fragen zu erörtern. (Siehe “Was ist ein genetischer Berater?” auf S. 37.)

Potenzielle Risiken haben hauptsächlich mit Ihren Erbinformationen zu tun. Die Testergebnisse können belastend sein oder Sorgen bereiten, besonders wenn sie etwas Unerwartetes ergeben. Und auch wenn Vertraulichkeit und Datensicherheit auf höchstem Niveau gewahrt werden, können dennoch Bedenken wegen einer versehentlichen Weitergabe von Daten bestehen. Besprechen Sie mit Ihrem persönlichen Gesundheitsdienstleister, wie das Wissen über Ihre Erbinformationen geschützt wird.

Die Entscheidung über eine Teilnahme an einer Forschungsstudie liegt ganz bei Ihnen; im Falle von genetischer Forschung mögen jedoch noch weitergehende Erwägungen im Raum stehen, die Sie und Ihre Angehörigen

Denken Sie an Fakt 4:
Eine Forschungsbeteiligung bringt Risiken und Vorteile mit sich

betreffen. In einem Gespräch mit Ihrem Arzt oder einem genetischen Berater können Sie mögliche Bedenken ansprechen und dann erst entscheiden, ob Sie einen Gentest durchführen lassen oder an genetischer Forschung teilnehmen möchten.



Eine Familie unterstützt gemeinsam die genetische Forschung

2008 hatte Patti Meese viel Spaß, eine großartige Familie und liebte das Leben. Sie war erfolgreich in ihrem Beruf und hatte viele Freunde. „Als ich Parkinson bekam, bin ich in eine tiefe Depression gerutscht“, erzählt sie. „Ich redete nicht mehr mit meinen Freunden, ging nicht mehr aus und machte keinen Sport mehr. Mein Gang wurde schlurfend, ich musste mich auf einen Stock stützen und zog mein linkes Bein nach.“

Die Dinge änderten sich für Patti, als sie mit Physiotherapie begann. Nach und nach wurde sie stärker und ausdauernder, und sie beschloss, sich über die Parkinson-Krankheit (MP) und den aktuellen Stand der Forschung zu informieren. „Ich wollte mir selbst helfen, mich besser fühlen und mich auch besser bewegen können“, erklärt sie.

Als Teilnehmerin an einer Studie erhielt Patti überraschende Informationen: sie ist Trägerin einer Mutation im Gen *LRRK2*, das in Zusammenhang mit Parkinson steht.

Kein weiteres Mitglied ihrer Familie zeigt bislang Anzeichen von Parkinson; dennoch fragte sich Patti, ob andere vielleicht auch die Mutation trugen. „Ich lud die gesamte Familie ein, um gemeinsam zu grillen“,

erinnert sie sich. „Ich fragte sie, ob sie bereit wären, sich auf diese Mutation testen zu lassen, um die Parkinson-Forschung voranzubringen.“

Patti erklärte ihnen, dass sie Zugang zu einer genetischen Beratung haben würden, bei der ihre Fragen beantwortet und die Ergebnisse besprochen würden. Ihre Tochter und vier Schwestern waren sofort einverstanden. Letztendlich stellte sich heraus, dass Pattis Tochter und eine ihrer Schwestern Trägerinnen von *LRRK2*-Mutationen sind. Keine von ihnen hat Parkinson, aber beide nehmen nun an Parkinson-Studien teil.

Seitdem Patti sich selbst an der Forschung beteiligt und bei anderen dafür wirbt, blickt sie mit mehr Zuversicht in ihr Leben mit Parkinson und weiß, dass sie etwas Sinnvolles tut. Inzwischen sieht sie ihren Weg mit Parkinson als Chance oder sogar als Geschenk, da sie so die Möglichkeit bekommt, anderen Erkrankten zu helfen. „Ich hoffe, dass ich dazu beitragen kann, dass andere besser leben, und gleichzeitig die Forschung voranbringe – und vielleicht sogar den Weg ebne, damit die Krankheit einmal geheilt werden kann.“

Überlegungen vor einem Gentest

Die Ergebnisse eines Gentests können Auswirkungen auf verschiedene Bereiche Ihres Lebens und des Lebens Ihrer Familie haben. Daher sollte die Entscheidung, einen Gentest in Eigenregie oder im Rahmen einer entsprechenden Forschungsstudie durchführen zu lassen, erst nach reiflicher Überlegung getroffen werden. Bedenken Sie, dass Sie nicht in allen Studien Ihre Ergebnisse erfahren; in manchen Fällen können Sie wählen, auf diese Informationen zu verzichten. Mit Ihrem Arzt und Ihrem genetischen Berater (falls in Ihrer Region vorhanden) können Sie durchsprechen, was die Durchführung eines Gentests bedeutet und welche spezifischen Erwägungen rund um Arbeit, Versicherung, Familie und Kosten bestehen.

Was ist ein genetischer Berater?



Genetische Berater sind Experten, die über Fachkenntnisse in den Bereichen Humangenetik und Beratung verfügen. Sie können Menschen informieren und emotional unterstützen, wenn diese aus den unterschiedlichsten Gründen einen Gentest erwägen oder bereits haben durchführen lassen: manche leiden an der Parkinson-Krankheit (MP) oder gehören zu einer Risikogruppe (aufgrund einer genetischen Mutation oder einer familiären Häufung von Parkinson), andere möchten einfach nur mehr über ihr Erbgut erfahren.

Jennifer Verbrugge, MS, CGC, LGC ist eine zertifizierte genetische Beraterin an der Indiana University. Sie arbeitet mit Teilnehmern der Initiative zu Progressionsmarkern der Parkinsonkrankheit (Parkinson's Progression Markers Initiative; PPMI) der Michael J. Fox Stiftung (MJFF) zur Identifizierung von Biomarkern. Sie sagt: „Der Begriff ‚Beratung‘ kann negativ besetzt sein. Tatsächlich werden bei einer genetischen Beratung in erster Linie die erblichen Aspekte einer Krankheit besprochen; sie ist der richtige Ort, an dem Sie vor oder nach einem Gentest Ihre Fragen stellen können.“

Dann fährt sie fort: „Alle, die einen Gentest erwägen – ob nur für sich selbst oder im Rahmen einer Forschungsstudie im Bereich

der Genetik – können von einem Gespräch mit einem genetischen Berater profitieren.“

Genetische Berater können Ihnen die Vor- und Nachteile eines Gentests erklären und erläutern, was ein Gentest Ihnen und Ihren Angehörigen verraten kann und was nicht. Hier erhalten Sie praktische Ratschläge und Unterstützung, etwa wie Sie mit Ihren Angehörigen über Parkinson sprechen könnten. (Siehe „Überlegungen vor einem Gentest“ auf der vorherigen Seite.)

Bei einer genetischen Beratung werden Sie nicht nur über die Ergebnisse Ihres Gentests und deren mögliche Bedeutung für Sie und Ihre Familie sprechen. Sie werden auch:

- + Grundlegende Informationen zu Parkinson erhalten;
- + Näheres zu den genetischen Grundlagen von Parkinson erfahren, etwa was bereits bekannt ist und was nicht und wie verschiedene Mutationen vererbt werden;
- + Ihre Familiengeschichte im Hinblick auf Parkinson besprechen, ob Familienmitglieder bereits einen Gentest haben durchführen lassen und wer, falls überhaupt, Mutationen trägt; und
- + Ihre eigenen Fragen stellen können. Ein häufiges Thema sind oft das genaue Risiko einer Person oder eines

Angehörigen, an Parkinson zu erkranken, und Möglichkeiten der Vorbeugung. Dieser Bereich wird derzeit erforscht, die Ärzte haben jedoch noch keine endgültigen Antworten.

Zur Vorbereitung auf Ihren Termin können Sie alle Informationen über das Erbgut Ihrer Familie zusammentragen, die Sie vielleicht haben. Bei einer genetischen Beratung liegt das Hauptinteresse auf älteren Verwandten (z. B. Großeltern, Eltern, Tanten, Onkel oder ältere Geschwister), Informationen über jüngere Geschwister und Kinder können jedoch auch wichtig sein. Außerdem sollten Sie sich Ihre eigenen Fragen notieren, die Sie gerne besprechen würden.

Wenn genetische Berater in Ihrer Gegend tätig sind, kann Ihr Arzt Sie überweisen, oder Sie stellen den Kontakt über eine Suche im Internet her. Achten Sie darauf, dass der Berater auf Genetik bei Erwachsenen oder auf Neurogenetik spezialisiert ist. Falls Sie den Test selbst haben durchführen lassen, etwa mithilfe eines Onlinedienstes, ist vielleicht ein Berater mit Fachwissen über zu Hause durchgeführte Gentests für Sie geeignet.

Arbeit

Möglicherweise ergeben sich Fragen, welche Auswirkungen die Ergebnisse eines Gentests auf Ihren Arbeitsplatz haben und ob Ihr aktueller oder ein zukünftiger Arbeitgeber darüber informiert werden sollte. Wahrscheinlich müssen Sie Ihren genetischen Status (und den Ihrer Angehörigen) nicht offenlegen, und es ist Arbeitgebern gesetzlich untersagt, arbeitsbezogene Entscheidungen auf Grundlage von Wissen über Ihr Erbgut zu treffen (z. B. Einstellung, Beförderung oder Kündigung). Ihr Arzt oder ein genetischer Berater können Ihnen erläutern, wie dies in Ihrem Land gesetzlich geregelt ist und wie diese Regelung auf Ihre Situation zutrifft.

Versicherung

Überlegen Sie sich vor dem Testen, wie sich die Ergebnisse auf Ihre Krankenversicherung und andere Arten von Versicherungen auswirken könnten. Krankenversicherungen sind möglicherweise nicht in der Lage, Beiträge und Versicherungsschutz aufgrund Ihres genetischen Status oder des genetischen Status Ihrer Familienmitglieder entsprechend anzupassen. Der Schutz erstreckt sich möglicherweise nicht auf Pflege-, Lebens- oder Berufs-/Erwerbsunfähigkeitsversicherungen. Ihr Arzt oder ein genetischer Berater kann diese Überlegungen vor dem Gentest mit Ihnen besprechen.

Familie

Mit einem Gentest erfahren Sie unter Umständen nicht nur mehr über sich selbst, sondern auch über Ihre Familienangehörigen. Wenn Sie beispielsweise herausfinden, dass Sie Träger einer genetischen Mutation sind, die das Parkinson-Risiko erhöht, könnte sich die Frage nach dem Risiko stellen, das für Ihre Kinder oder Geschwister besteht. Im Rahmen einer genetischen Beratung können Sie verschiedene Szenarien besprechen und gemeinsam erarbeiten, wie Sie Ihrer Familie die Testergebnisse vermitteln, falls Sie sich hierfür entscheiden.

Kosten

Die Kosten für einen Gentest können abhängig von der Art der Durchführung, der Detailtiefe und der Art Ihrer Krankenversicherung variieren.

Gentests können im Rahmen von Forschungsstudien, über Online-Dienste oder von Ihrem Arzt durchgeführt werden. Wenn der Test zu Forschungszwecken erfolgt, entstehen Ihnen in der Regel keine Kosten. Genetische Basistests, die über Online-Dienste durchgeführt werden, müssen Sie wahrscheinlich aus eigener Tasche bezahlen. Falls Sie sich auf eine ärztliche Empfehlung hin testen lassen, müssen Sie eventuell einen Teil der Kosten übernehmen. Klären Sie dies bitte rechtzeitig mit Ihrer Krankenkasse. Möglicherweise deckt Ihre Krankenversicherung auch die zugehörige genetische Beratung ab, doch auch hier könnte eine Selbstbeteiligung an den Kosten anfallen.

Wichtigste Erkenntnisse

Genetik und die klinische Erforschung von Parkinson

Auf der Suche nach einer Heilungsmöglichkeit für Parkinson spielt die genetische Forschung eine unglaublich wichtige Rolle. Diese Studien benötigen Teilnehmer, die Träger oder nicht Träger der mit Parkinson in Zusammenhang stehenden genetischen Mutationen sind, um herausfinden zu können, was die Krankheit verursacht und wie wir sie aufhalten können. Wägen Sie dennoch die Vorteile und Risiken gründlich ab, bevor Sie an genetischer Forschung teilnehmen, und besprechen Sie Ihre Fragen mit einem genetischen Berater (falls verfügbar) oder dem Studienteam.

+ **Freiwillige Teilnehmer an genetischer Forschung können dazu beitragen, unser Wissen über die Parkinson-Krankheit (MP) entscheidend zu erweitern.** Unsere wichtigsten Erkenntnisse über die zugrunde liegenden biologischen Gegebenheiten stammen aus Studien im Bereich Genetik. Wenn Sie sich an genetischer Forschung beteiligen, helfen Sie der Wissenschaft, die Ursachen von Parkinson zu erkennen und Therapien zu entwickeln, die die Krankheit verlangsamen oder stoppen. Dabei können Menschen der verschiedensten Gruppen einen Beitrag leisten – Freiwillige mit und ohne Parkinson ebenso wie Freiwillige mit und ohne die betreffenden genetischen Mutationen.

+ **Die Zukunft einer Behandlung von Parkinson liegt möglicherweise in der Präzisionsmedizin – und den Weg dorthin weist die Genetik.** Vielleicht werden die Ärzte zukünftig eine Behandlung aufgrund der genetischen Gegebenheiten

eines Patienten auswählen und weniger aufgrund seiner Symptome (wie dies heute schon bei manchen Krebsarten der Fall ist). Derzeit befinden sich Arzneimittel in der Testphase, die den Verlauf der Erkrankung bei Parkinson-Patienten mit bestimmten genetischen Mutationen verlangsamen könnten.

+ **Ob Sie Ihren genetischen Status kennen möchten oder nicht, ist eine persönliche Entscheidung; eine genetische Beratung kann Ihnen helfen, sie zu treffen.** Manche Menschen haben kein Interesse, ihren genetischen Status in Bezug auf Parkinson zu erfahren, da es noch keine Therapien gibt, um den Krankheitsverlauf zu verlangsamen oder zu stoppen, und dieses Wissen keinen Einfluss auf die Behandlung hat. Andere möchten vielleicht Bescheid wissen, um gezielt an Forschungsstudien teilnehmen zu können. Sprechen Sie auf jeden Fall mit Ihren Angehörigen und vielleicht auch einem genetischen Berater,

bevor Sie sich einem Gentest unterziehen. Berater können Ihnen helfen, das Pro und Kontra abzuwägen, und geben Ihnen praktische Ratschläge und Unterstützung.

Nachwort: Wie geht es weiter?

Gedanken eines Studienteilnehmers

Von Gary Rafaloff

2012 wurde bei mir die Parkinson-Krankheit (MP) diagnostiziert. Wie bei den meisten Menschen stieß mich die Diagnose völlig vor den Kopf, ich war verunsichert und verwirrt. Anders jedoch als wahrscheinlich die meisten Betroffenen meldeten meine Frau und ich uns noch am selben Tag zu unserer ersten klinischen Studie an. (Zugegeben, ich habe beruflich mit Forschung und Statistik zu tun, daher bin ich vielleicht vertrauter mit den Besonderheiten einer Studienteilnahme als die meisten anderen Menschen.)

Wie sich herausstellte, war diese erste Studie nur der erste Schritt hin zu einer neuen Rolle in meinem Leben: der eines Studienteilnehmers. Inzwischen habe ich mich an über 20 Projekten beteiligt. Ich habe eine Smartwatch getragen, um meine Aktivitäten zu überwachen, mich einem Gentest unterzogen und sogar drei Mal wöchentlich Infusionen eines potenziell neuroprotektiven Arzneimittels erhalten (wie sich später herausstellte, war ich in der Placebo-Gruppe gewesen).

Man könnte meinen, dass ein unermüdlicher Freiwilliger wie ich alles weiß, was es über Forschungsbeteiligung zu wissen gibt. Dennoch enthält der Leitfaden, den Sie gerade in Händen halten, so viele neue Informationen für mich, dass ich ihn immer wieder lesen möchte. Wann immer ich ihn zur Hand nehme, stelle ich fest, dass ich mich mit unterschiedlichen Aspekten beschäftige und neue Gefühle erlebe. Die Hunderten von Studien, die heute durchgeführt werden, geben mir Kraft und Energie. (Glauben Sie mir, die Zunahme ist wirklich bedeutend, auch wenn man in der Parkinson-Forschung nur fünf Jahre zurückgeht.) Den wissenschaftlichen Fortschritt im Verständnis der Krankheitsursachen und ihrer Beziehung zu genetischen und zellulären Vorgängen finde ich einfach faszinierend. Die Geschichten des Patientenbeirats der Stiftung und der engagierten Fürsprecher der Forschung motivieren mich, weiterhin meinen Beitrag zu leisten, so gut ich kann und so lange ich kann.

Und es wird mich immer beeindrucken, wie unglaublich lange es dauert – buchstäblich Jahrzehnte –, bis Forscher und Regulierungsbehörden neue Behandlungen für Hirnerkrankungen entdecken, testen und genehmigen. Die Wissenschaft hat schon immer einen langen Atem gebraucht, aber es ist mir (und auch allen anderen Patienten, die ich kenne) vollkommen klar, dass mehr Parkinson-Betroffene an Versuchen teilnehmen müssen. (Ich kann es nur schwer fassen, dass 85 Prozent aller klinischen Versuche verzögert oder gar nicht erst durchgeführt werden, einfach weil niemand an ihnen teilnimmt).

Merkwürdigerweise gibt mir das aber auch Hoffnung. Schließlich leben wir gerade in Zeiten großer Möglichkeiten. Die Parkinson-Krankheit ist eine Diagnose, die man niemandem wünscht. Aber wenn ich sie schon haben muss, bin ich dankbar, sie in einer Zeit zu haben, in der ich persönlich dazu beitragen kann, bahnbrechende neue Therapien auf den Markt zu bringen.

Heute werden Arzneimittel in Interventionsstudien getestet, die einige der belastendsten Parkinson-Symptome lindern könnten. Es werden Behandlungsmöglichkeiten ausgewertet, die vielleicht den Krankheitsverlauf verlangsamen oder stoppen, wozu keine der aktuellen Therapien in der Lage ist. Es werden Beobachtungsstudien

*„Ziehen Sie niemals in Zweifel, dass
gewöhnliche Menschen wie Sie und ich der
wichtigste Teil auf dem komplexen und teuren
Weg hin zu einem neuen Arzneimittel sind.“*

durchgeführt, um neue Erkenntnisse über die Ursachen der Krankheit, ihre Veränderung im Laufe der Zeit und ihren Zusammenhang mit genetischen Faktoren zu gewinnen. Und es gibt Studien, die die Mitwirkung von Familienangehörigen Betroffener und selbst von Personen ohne familiäre Verbindung zu Parkinson benötigen. Jede dieser Studien bietet eine andere Möglichkeit, sich einzubringen.

Zweifeln Sie niemals daran, dass gewöhnliche Menschen wie Sie und ich der wichtigste Teil auf dem komplexen und teuren Weg hin zu einem neuen Arzneimittel sind. Sie glauben mir nicht? Fragen Sie einen Wissenschaftler. Er wird Ihnen sagen: Alle Forschungsfinanzierung der Welt ist umsonst ohne die einzigen Menschen, die die Frage beantworten können, ob diese Forschung jemandem hilft – diejenigen, die mit der Krankheit leben.

Wie also geht es weiter? Nach der Lektüre dieses Buchs stehen uns viele Optionen offen. Wir verstehen nun besser, wie klinische Studien funktionieren. Wir wurden daran erinnert, wie wichtig Forschung ist. Und uns wurde ins Bewusstsein gerückt, wie entscheidend es ist, mehr Studienteilnehmer zu gewinnen. Setzen wir dieses Wissen also in die Tat um! Beginnen Sie mit einfachen Schritten: Sprechen Sie Ihren Arzt auf klinische Studien in Ihrer Gegend an, fragen Sie von Parkinson Betroffene, was ihre Aufmerksamkeit erregt, und registrieren Sie sich im Fox Trial Finder (foxtrialfinder.org). Und ehe sie sich's versehen, werden Sie an einer Studie teilnehmen.

Die Menschen melden sich aus unterschiedlichen Gründen für eine Studie: um ihrer Krankheit nicht hilflos

ausgeliefert zu sein, um frühzeitig Zugang zu neuen Arzneimitteln zu erhalten oder um von Ärzten an führenden Forschungszentren untersucht zu werden. Letztendlich sind die Gründe jedoch nicht wichtig, es zählt allein, dass mehr von uns es tun.

Ich hatte ein Ziel, als ich an meiner ersten Studie teilnahm: ein neues Medikament zu testen, das möglicherweise den Verlauf verlangsamen kann. Später machte ich aus weniger eigennützigen Gründen weiter – ich möchte nicht, dass meine Kinder und Enkelkinder einmal mit Parkinson zu kämpfen haben.

In Wirklichkeit aber profitiere auch ich von jeder Studie, selbst wenn ich denke, nur anderen zuliebe mitzumachen. Ich erfahre mehr über die Krankheit, über mich selbst oder über beides. Und ich nehme aus jedem Termin erneut das Gefühl mit, dass ich selbst es in der Hand habe, die Geschichte der Parkinson-Krankheit zu verändern.

Nach wie vor gibt es viel zu viele offene Fragen rund um Parkinson. Doch wie Michael J. Fox sagt, wir können Teil der Antwort sein. Tatsächlich sind wir die einzigen. Schließen auch Sie sich an.



Gary Rafaloff

Gary Rafaloff, 65, erhielt die Parkinson-Diagnose im Alter von 60 Jahren. Mit seiner Frau Bobbi lebt er in Marlboro, New Jersey, USA. Wenn Gary Rafaloff nicht gerade „die Community aufmischt“, um die Parkinson-Forschung voranzubringen, verbringt er gerne Zeit mit seinen drei Kindern und zwei Enkelkindern, macht Tai Chi und liebt einen Mitternachtssnack mit zwei Kugeln Rocky Road-Eiscreme.

Anhang

Weitere Ressourcen für eine Teilnahme an klinischen Versuchen



Fox Trial Finder

Fox Trial Finder ist ein von der Michael J. Fox Stiftung entwickeltes Programm zur Vernetzung der klinischen Forschung, um freiwillige Teilnehmer – Parkinson-Patienten wie auch eine Kontrollgruppe von nicht Betroffenen – zahlreicher an die klinischen Studien zu vermitteln, die sie benötigen. Im Fox Trial Finder sind klinische Studien zu Parkinson und atypischem Parkinson-Syndrom in den Vereinigten Staaten und anderen Ländern aufgeführt. Freiwillige, die sich für den Fox Trial Finder registrieren, erhalten eine Liste aller Studien, die aktuell Teilnehmer suchen und deren Teilnahmebedingungen sie erfüllen. Über das sichere und anonyme Messaging-System der Website können Sie ganz nach Wunsch auf passende Angebote reagieren.

Fox Trial Finder bringt Patienten und ihre Angehörigen in Kontakt zu Parkinson-Studien und beschleunigt so den Fortschritt hin zu therapeutischen Durchbrüchen, wodurch Patienten rascher eine bessere Behandlung erhalten.

Weitere Informationen über Fox Trial Finder finden Sie auf foxtrialfinder.michaeljfox.org/de.



Fox Insight

Fox Insight ist eine online durchgeführte klinische Studie, die kontinuierlich Informationen über die Erfahrungen von Patienten mit Parkinson erfasst. Betroffene und Menschen, die nicht an der Krankheit leiden, können sich an Fox Insight beteiligen und in vierteljährlichen Fragebögen Einblicke aus dem echten Leben in Symptome, Medikamente und andere Faktoren geben. Diese Informationen könnten unsere Kenntnisse über Parkinson erweitern, die Forschung beeinflussen und die Entwicklung von Arzneimitteln leiten.

Fox Insight eröffnet außerdem die Möglichkeit, über ergänzende Umfragen und Unterstudien weitere Daten beizutragen, etwa mit der Fox Insight Genetic Substudy. Dank der Kooperation zwischen der Michael J. Fox Stiftung und 23andMe, einem Unternehmen für Individualgenetik, können Parkinson-Patienten die von ihnen gemachten Angaben noch aussagekräftiger machen, indem sie ihre Fox Insight-Daten mit ihrem genetischen Profil koppeln. Die Teilnehmer können eine genetische Beratung zu den Risikogenen für Parkinson kostenlos in Anspruch nehmen. Der kombinierte Datensatz gewährt Wissenschaftlern einen ganzheitlicheren Einblick in die Parkinson-Krankheit, damit bessere Therapien und letztendlich Heilungsmöglichkeiten rascher gefunden werden.

Alle durch Fox Insight und in den zugehörigen Unterstudien erhobenen Daten werden anonymisiert und qualifizierten Forschern zugänglich gemacht, um das Verständnis der Parkinson-Krankheit zu verbessern.

Registrieren Sie sich noch heute für Fox Insight auf foxinsight.org (auf Englisch).



PARKINSON'S
PROGRESSION
MARKERS
INITIATIVE

Play a Part in Parkinson's Research

Initiative zu Progressionsmarkern der Parkinsonkrankheit

Die Initiative zu Progressionsmarkern der Parkinsonkrankheit (Parkinson's Progression Markers Initiative; PPMI) ist eine bahnbrechende klinische Beobachtungsstudie der Michael J. Fox Stiftung. Sie wurde 2010 gestartet, um Biomarker für die Parkinson-Krankheit zu finden – Krankheitsindikatoren, die ein wesentliches fehlendes Bindeglied auf der Suche nach besseren Behandlungsmöglichkeiten für Parkinson darstellen. An PPMI sind 33 klinische Einrichtungen in 11 Ländern beteiligt; hier bringen die mehr als 1.500 Teilnehmer – Menschen mit und ohne Parkinson, mit Parkinson-Risiko oder mit genetischen Verbindungen zu Parkinson – unschätzbar wertvolle Daten und Bioproben (z. B. Blut, Liquor) in die umfassendste Daten- und Probenbank zur Parkinson-Krankheit ein, die jemals erstellt wurde.

Da es sich um eine Beobachtungsstudie handelt, wird im Rahmen von PPMI keine Intervention getestet, etwa ein Arzneimittel oder eine Behandlung. Stattdessen begleitet PPMI die Teilnehmer über einen Zeitraum von mindestens fünf Jahren, um die biologischen Veränderungen besser zu verstehen, die im Laufe der Zeit auftreten. Dies hilft der Wissenschaft, mehr über das Fortschreiten der Parkinson-Krankheit zu erfahren und möglicherweise einen oder mehrere Biomarker für Parkinson zu identifizieren. PPMI wird von MJFF geleitet und in Partnerschaft mit 21 biotechnischen und pharmazeutischen Unternehmen finanziert.

Weitere Informationen zu PPMI finden Sie unter michaeljfox.org/ppmi.

Weitere Quellen für genetische Beratung und Hirnsponderprogramme

Australien

Australasian Society of Genetic Counsellors

Verzeichnis genetischer Beratungsstellen in Australien und Neuseeland

www.hgsa.org.au/asgc

Australian Brain Bank Network

Netzwerk von Hirnsponderprogrammen in ganz Australien

www.austbrainbank.org.au

Kanada

Canadian Association of Genetic Counsellors

Verzeichnis von Kliniken für Genetik in Kanada

www.cagc-accg.ca

Hirnsponderprogramme

In ganz Kanada gibt es lokale Zentren für Hirnspenden. Informieren Sie sich bei Ihrem Arzt über Zentren in Ihrer Nähe.

Frankreich

Neuro-CEB

Hirnsponderprogramm zur Erforschung neurodegenerativer Erkrankungen

www.neuroceb.org

Association Française des Conseillers en Génétique

Verzeichnis genetischer Beratungsstellen in Frankreich

www.af-cg.fr/cg-par-region-2

Deutschland

NeuroBiobank München

Hirnsponderprogramm zur Erforschung neurologischer und/oder psychischer Erkrankungen

www.neuropathologie.med.uni-muenchen.de

Deutsche Gesellschaft für Neurogenetik

Verzeichnis führender Forscher auf dem Gebiet der Parkinson-Genetik

www.dgng.de

Deutsche Gesellschaft für Humangenetik e.V.

Verzeichnis genetischer Beratungsstellen in Deutschland

www.gfhev.de

Italien

Il Nodo Nazionale della Infrastruttura di Ricerca Europea delle Biobanche e delle Risorse BioMolecolari

Netzwerk von Hirnsponderprogrammen zur Forschung in Italien

www.bbmri.it

Genetische Beratung

Informieren Sie sich bei Ihrem Arzt über Gentests und Beratungsstellen in Ihrer Nähe.

Spanien

Red Nacional de Biobancos

Kooperatives Netzwerk von Repositorien, die Spenden von biologischen Proben für die Forschung annehmen

www.redbiobancos.es

La Sociedad Española de Asesoramiento Genetico

Nationales Netzwerk genetischer Beratungsstellen

www.seagen.org

Großbritannien

Parkinson's UK Brain Bank

Hirnsponderprogramm für die Parkinson-Forschung

www.parkinsons.org.uk/brainbank

Association for Clinical

Genomic Science

Regionale Genetikzentren in Großbritannien und Irland

www.acgs.uk.com/geneticscentres

Glossar

Alpha-Synuclein

Ein Protein, das normalerweise in Gehirnzellen zu finden ist; es ist Hauptbestandteil von runden Einschlüssen, die als Lewy-Körper bezeichnet werden, im Gehirn von Parkinson-Kranken. Die Forschung geht davon aus, dass das Alpha-Synuclein in den Lewy-Körpern mit dem Absterben oder der Schädigung von Gehirnzellen zu tun hat. Eine Mutation im Gen SNCA, das die Produktion des Proteins Alpha-Synuclein steuert, ist die Grundlage einer seltenen erblichen Form der Parkinson-Krankheit.

Siehe auch: [SNCA](#)

Ausgangsdaten

Demografische Informationen (z. B. Alter und Geschlecht) und andere Angaben wie Symptome, Medikation oder Ergebnisse von bestimmten Tests, die von den Teilnehmern zu Beginn einer klinischen Studie erhoben werden.

Ausschlusskriterien

Faktoren, die die Teilnahme einer Person an einer bestimmten klinischen Studie verhindern.

Beobachtungsstudie

Eine klinische Studie, in der der Gesundheitszustand und andere Daten der Teilnehmer erhoben werden, bei der die Freiwilligen aber keine Intervention und kein Arzneimittel erhalten.

Siehe auch: [Intervention](#)

Biomarker

Ein messbares, biologisches Merkmal, das genutzt werden kann, um das Risiko, das Vorliegen oder das Fortschreiten einer Erkrankung zu bestimmen. So ist Bluthochdruck etwa ein Biomarker für eine mögliche Herzerkrankung. Bislang konnte kein Biomarker für Parkinson bestätigt werden, dies ist jedoch aktuell Gegenstand der Forschung.

Computertomographie (CT)

Die Computertomographie, kurz CT, ist ein Röntgenverfahren, mit dem Bereiche des menschlichen Körpers in zweidimensionalen Querschnittsbildern dargestellt werden.

DaTSCAN™

DaTSCAN ist eine spezialisierte bildgebende Technik, die kleine Mengen eines radioaktiven Arzneimittels einsetzt, um die Dopamin-produzierenden Zellen im Gehirn zu beurteilen. Dieses Verfahren kann Parkinson für sich allein genommen nicht diagnostizieren, kann aber dazu beitragen, eine ärztliche Diagnose zu bestätigen. DaTscan wird derzeit als möglicher Biomarker für Parkinson untersucht.

Siehe auch: [Biomarker](#)

De-novo-Parkinson

Dieser Ausdruck beschreibt eine Parkinson-Erkrankung, die erst vor Kurzem diagnostiziert wurde und oft noch nicht medikamentös behandelt wird. (Manche Studien nehmen nur Teilnehmer auf, die ein bestimmtes Parkinson-Medikament nehmen, und für jede Studie werden spezifische Kriterien festgelegt.)

Digitale Gesundheit

Ein breites Spektrum gesundheitsbezogener Initiativen, darunter mobile Gesundheit (Geräte zum Verfolgen von Messgrößen wie der körperlichen Aktivität), Gesundheitsinformationstechnologie, Wearables (Sensoren am Körper zur Messung von Bewegung, Schlaf usw.), Telemedizin oder Online-Studien.

Siehe auch: [Telemedizin](#); [virtuelle Studie](#); [Wearable](#)

Einschlusskriterien

Faktoren, die gegeben sein müssen, damit eine Person an einer bestimmten klinischen Studie teilnehmen kann.

Endpunkt

Ein Test oder eine Untersuchung, um die Wirkung einer Intervention auf bestimmte Symptome oder andere Krankheitsmerkmale zu messen. Das Studienteam entscheidet vor Studienbeginn, welche Messgrößen ausgewertet werden sollen. Jede Interventionsstudie hat einen primären Endpunkt, der die wichtigste Messgröße darstellt, um die Wirkung der Intervention zu beurteilen. Daneben können Studien auch sekundäre Endpunkte beinhalten, die nicht so wichtig, aber dennoch interessant für eine Beurteilung sind.

Ergebnisse aus Patientenbefragungen

Daten, die direkt von den Teilnehmern berichtet werden. Ergebnisse aus Patientenbefragungen ergänzen die herkömmlichen Messgrößen, die während eines klinischen Versuchs stationär oder ambulant erhoben werden, und vermitteln dem Forschungsteam ein umfassenderes Bild der Krankheit.

Ethikkommission

Eine unabhängige Gruppe von Forschern, Ärzten und anderen (in der Regel mindestens ein „Nicht-Wissenschaftler“ als Patientenvertreter), die das Protokoll und die Patienteneinwilligungserklärungen von Studien bewertet und genehmigt und die Aktivitäten laufender Studien überwacht. Aufgabe der Ethikkommission ist es, die Rechte und das Wohlbefinden der Studienteilnehmer zu schützen.

Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA)

Eine dezentrale Agentur der Europäischen Union (EU), die für die wissenschaftliche Beurteilung und Überwachung der Sicherheit von Arzneimitteln in der EU zuständig ist.

Familiäre Parkinson-Krankheit

Ein Typ der Parkinson-Krankheit, der familiär gehäuft auftritt und mutmaßlich in erster Linie genetisch verursacht ist. Familiäre Parkinson-Erkrankungen machen weniger als 10 Prozent aller Fälle weltweit aus.

Siehe auch: [idiopathische Parkinson-Krankheit](#)

Food and Drug Administration (US-Behörde für Arzneimittel- und Lebensmittelsicherheit, FDA)

Die FDA ist eine Behörde des US-Ministeriums für Gesundheitspflege und soziale Dienste. Sie stellt sicher, dass Arzneimittel für Menschen, biologische Produkte, Medizingeräte, Lebensmittel, Kosmetika und andere Produkte für die Verbraucher sicher und wirksam sind.

Freiwilliger für die Kontrollgruppe

Eine Person ohne bekannte erhebliche Gesundheitsprobleme, die an einer Studie teilnimmt, in der ein Arzneimittel, ein Medizinprodukt oder eine andere Intervention getestet werden. Diese Personengruppe kann auch an Beobachtungsstudien teilnehmen. Freiwillige Teilnehmer der Kontrollgruppe werden zum Vergleich mit Patientengruppen herangezogen, wenn sie hinsichtlich bestimmter Merkmale übereinstimmen, etwa Alter oder Geschlecht. In der Parkinson-Forschung können sie neue Therapien auf ihre Sicherheit testen, dem Studienteam helfen, „Nicht-Parkinson-Werte“ zu definieren, oder als Messlatte dienen, an der natürliche Veränderungen bei einer Parkinson-Erkrankung abgeglichen werden.

Gaucher-Krankheit

Eine seltene Krankheit, bei der sich fetthaltige Substanzen ablagern und Organe anschwellen. Diese Krankheit tritt bei Menschen auf, die zwei Kopien des mutierten *GBA*-Gens tragen. Menschen mit dieser Mutation produzieren nicht genügend Glukozerebrosidase, ein Enzym, das Glucocerebroside (bestimmte zuckerhaltige Fettstoffe) aufspaltet.

Siehe auch: [GBA](#)

GBA

Das Gen *GBA* steuert die Produktion des Proteins Glukozerebrosidase, das Glycolipide (zuckerhaltige Fettstoffe) aufspaltet. Mutationen des *GBA*-Gens sind der häufigste genetische Risikofaktor für eine Parkinson-Erkrankung; *GBA*-Mutationen können die Bildung von Einschlüssen aus dem Protein Alpha-Synuclein zur Folge haben.

Siehe auch: [Alpha-Synuclein](#)

Geldgeber

Der Geldgeber (meist auch Sponsor) einer Studie stellt die finanziellen Mittel für die Forschung bereit. Die Finanzierung kann von unterschiedlichsten Einzelpersonen oder Organisationen stammen, etwa von Stiftungen, Pharmaunternehmen oder staatlichen Agenturen wie der US-Behörde National Institutes of Health.

Gen

Die Grundlage der Vererbung. Gene werden über die Generationen hinweg von den Eltern an ihre Kinder weitergegeben. Diese ererbten DNA-Abschnitte bestimmen viele der Eigenschaften eines Körpers: sichtbare Merkmale wie etwa die Augenfarbe, aber auch unsichtbare Eigenschaften wie das Risiko, an einer bestimmten Krankheit zu erkranken.

Genetische Mutation

Eine dauerhafte Veränderung in der Sequenz eines Gens, die Auswirkungen auf die Gesundheit oder ein Krankheitsrisiko haben kann.

Genetischer Berater

Eine Gesundheitsfachkraft mit Fachkenntnissen in medizinischer Genetik und Beratung, die Personen, die einen Gentest erwägen oder durchführen lassen, informiert und emotional unterstützt.

Gentest

Ein medizinischer Test, bei dem Veränderungen am Erbgut identifiziert werden. Gentests können das Vorliegen einer vermuteten genetischen Veränderung ermitteln, um Rückschlüsse auf die Wahrscheinlichkeit zu ziehen, mit der die untersuchte Person eine genetische Erkrankung entwickeln oder weitergeben wird.

Hoehn & Yahr Skala

Die Hoehn & Yahr Skala unterteilt die Parkinson-Krankheit nach dem Schweregrad der motorischen Symptome in Stadien. In klinischen Studien sind Stadien nach Hoehn und Yahr oft Bestandteil der Teilnahme-kriterien, um sicherzustellen, dass die untersuchte Intervention an Patienten mit den richtigen Symptomen getestet wird.

Idiopathische Parkinson-Krankheit

Die häufigste Form der Parkinson-Krankheit und verantwortlich für über 90 Prozent aller Fälle. Eine idiopathische, oder sporadische, Parkinson-Erkrankung ist in der Regel nicht familiär bedingt und wird wahrscheinlich durch ein Zusammenspiel von genetischen und Umweltfaktoren verursacht.

Siehe auch: [familiäre Parkinson-Krankheit](#)

Intervention

Eine potenzielle Therapie oder Behandlung, die in einem klinischen Versuch getestet wird. Dazu gehören Arzneimittel, medizinische Geräte oder Verfahren; es kann sich um experimentelle Produkte oder bereits verfügbare Therapien handeln. (Siehe: [Umwidmung](#).) Interventionen können auch nicht-invasive Ansätze sein, etwa körperliche Betätigung oder Physiotherapie.

Interventionsstudie (Interventionelle Studie)

Ein Studientyp, bei dem die Teilnehmer eine Intervention (z. B. ein Arzneimittel oder ein chirurgisches Verfahren) erhalten, damit das Studienteam den Effekt der Intervention auf bestimmte Symptome oder andere Krankheitsmerkmale beurteilen kann.

Siehe auch: [Intervention](#)

Klinische Prüfungen

Forschungsstudien, die mit menschlichen Freiwilligen durchgeführt werden, um die Wirkung einer Intervention (z. B. Arzneimittel, chirurgisches Verfahren, Bewegung) auf Symptome oder andere Merkmale dieser Krankheit zu beurteilen.

Siehe auch: [Interventionsstudie](#)

Klinische Studien

Forschungsstudien, die mit menschlichen Freiwilligen durchgeführt werden, um eine Krankheit besser zu verstehen oder die Wirkung einer Intervention (z. B. Arzneimittel, chirurgisches Verfahren, Bewegung) auf diese Krankheit zu beurteilen. Es gibt zwei Haupttypen klinischer Studien: klinische Prüfungen und Beobachtungsstudien.

Kohorte

Eine Gruppe von Einzelpersonen, die an einer klinischen Forschungsstudie teilnehmen. In Kohortenstudien wird eine große Anzahl von Personen über einen längeren Zeitraum hinweg beobachtet, beispielsweise um zu sehen, wer an Parkinson erkrankt und wer nicht, um mehr über die möglichen Ursachen und Risikofaktoren zu erfahren.

Komorbidität

Das Auftreten von zwei oder mehr Erkrankungen, etwa einer Angststörung und Parkinson, bei einer Person zum gleichen Zeitpunkt.

Kontrollierte Studie

Ein Studientyp, bei dem ein neues Arzneimittel oder Verfahren mit einem Standard, der so genannten „Kontrolle“, verglichen wird. Diese Kontrolle kann ein Placebo (ohne wirksame Substanzen) oder der Behandlungsstandard sein, also die Behandlung, die von medizinischen Fachkräften weithin als die richtige Behandlung angesehen und eingesetzt wird.

Siehe auch: [placebokontrolliert](#)

Krankheitsmodifizierende Therapien

Behandlungen, die das Fortschreiten einer Erkrankung verhindern, verlangsamen, stoppen oder umkehren können. Bislang gibt es noch keine Therapie, die nachweislich den Verlauf von Parkinson ändert, es befinden sich aber mehrere Arzneimittel in verschiedenen klinischen Teststadien, die dieses Potenzial besitzen.

LRRK2

Das Gen *LRRK2* steuert die Produktion der LRRK2-Proteinkinase, eines Enzyms, das die Funktion anderer Proteine modifiziert. Das Gen *LRRK2* spielt in ein bis zwei Prozent aller Parkinson-Erkrankungen eine Rolle.

Lumbalpunktion

Bei einer Lumbalpunktion, auch Spinalpunktion genannt, wird im Bereich der Lendenwirbelsäule eine dünne Nadel in den das Rückenmark umschließenden Dural sack eingeführt, um zu Diagnosezwecken eine kleine Menge Liquor (Gehirn- und Rückenmarksflüssigkeit) zu entnehmen.

Längsschnittstudie

Eine Studie, deren Teilnehmer über einen längeren Zeitraum – oft Jahre oder Jahrzehnte – hinweg untersucht werden und die allgemein beobachtenden Charakter hat. Dieser Studientyp ist besonders gut geeignet, um Risikofaktoren oder das Fortschreiten einer Erkrankung zu bewerten.

Siehe auch: [Beobachtungsstudie](#)

Magnetresonanztomographie (MRT)

Eine Magnetresonanztomographie (MRT) nutzt starke magnetische Wellen, um detaillierte Bilder von Geweben und Organen im Inneren des menschlichen Körpers zu erzeugen. MRTs sind besonders gut geeignet, um das Gehirn abzubilden, und geben Informationen über die Struktur, nicht aber über die Funktion. Manche Formen von MRT werden als mögliche Biomarker in Betracht gezogen.

Siehe auch: [Biomarker](#)

Multizentrische Studie

Ein klinischer Versuch, der an mehr als einer medizinischen oder Forschungseinrichtung durchgeführt wird.

Neuroprotektive Behandlung

Eine Therapie zum Schutz vor einem Absterben oder einer Schädigung der Dopamin-produzierenden Zellen im Gehirn, die durch die Parkinson-Krankheit (MP) gefährdet sind. Aktuell gibt es keine genehmigte neuroprotektive Behandlung für Parkinson, mögliche Ansätze sind aber Gegenstand laufender Forschung. Diese Art Therapie könnte theoretisch für Menschen mit frühen Parkinson-Symptomen oder sogar für Angehörige einer Risikogruppe genutzt werden.

Neuroregenerative Behandlung

Eine Therapie, die das Nachwachsen Dopamin-produzierender Zellen im Gehirn anregt. Aktuell gibt es keine genehmigte neuroregenerative Behandlung für Parkinson, mögliche Ansätze sind aber Gegenstand laufender Forschung.

New Drug Application (NDA, Zulassungsantrag)

Ein Zulassungsantrag (NDA) ist das formelle Ansuchen eines Arzneimittelherstellers an die US-Arzneimittelbehörde FDA auf Zulassung eines neuen Arzneimittels. Im Rahmen eines Zulassungsantrags werden Daten aus der präklinischen Forschung und aus allen Phasen klinischer Studien am Menschen eingereicht.

Siehe auch: [Food and Drug Administration \(US-Behörde für Arzneimittel- und Lebensmittelsicherheit\)](#)

Offene Studie (Open-label-Studie)

Eine klinische Studie, bei der das Studienteam und die Teilnehmer wissen, welche Teilnehmer die Intervention bzw. das Placebo erhalten.

Siehe auch: [Verblindung](#)

Patienteneinwilligung

Ein Verfahren, um potenzielle Teilnehmer über den möglichen Nutzen und die möglichen Risiken einer bestimmten klinischen Studie zu informieren. Vor der Aufnahme in eine Studie müssen alle Teilnehmer eine Patienteneinwilligungserklärung unterzeichnen; in diesem Dokument werden alle Einzelheiten zur Studie und die Rechte und Verantwortlichkeiten des Teilnehmers erläutert.

Placebo

Substanzen oder Geräte, die keine aktiven Wirkstoffe enthalten, sich aber in Aussehen, Haptik und Geschmack nicht vom experimentellen Arzneimittel oder der experimentellen Therapie unterscheiden. Auf diese Weise wissen die Teilnehmer nicht, zu welchem Studienarm sie gehören.

Siehe auch: [placebokontrolliert](#)

Placeboeffekt

Eine positive körperliche oder emotionale Veränderung, die nach Einnahme eines Placebos (einer inaktiven Substanz) auftritt. Man geht davon aus, dass dieses Phänomen wenigstens teilweise auf einer positiven Erwartungshaltung beruht. (In anderen Worten, je mehr eine Person davon überzeugt ist, von etwas zu profitieren, desto wahrscheinlicher ist es, dass diese positive Wirkung auch eintritt.) Um zwischen diesem Effekt und dem echten Nutzen eines Arzneimittels oder einer Therapie unterscheiden zu können, sind klinische Studien in der Regel placebokontrolliert angelegt.

Siehe auch: [Placebo](#); [placebokontrolliert](#)

Placebokontrolliert

Ein Typ klinischer Studien, bei dem eine Teilnehmergruppe nach dem Zufallsprinzip ausgewählt wird, ein Placebo (ohne aktiven Wirkstoff) zu erhalten. Dies ermöglicht einen Vergleich mit dem Behandlungsstandard (Kontrolle) oder der Intervention.

Siehe auch: [Placebo](#)

Positronen-Emissions-Tomographie (PET)

Eine Positronen-Emissions-Tomographie (PET) ist ein spezialisiertes bildgebendes Verfahren, bei dem mithilfe einer geringen Menge eines radioaktiven Medikaments die Gehirnfunktion untersucht wird. So arbeiten Forscher aktuell daran, auf diese Weise das Protein Alpha-Synuclein im Gehirn zu visualisieren; dies könnte als Biomarker dienen und eine Möglichkeit sein, die Wirkung von Arzneimitteln in Studien zu messen.

Siehe auch: [Alpha-Synuclein](#); [Biomarker](#)

Protokoll

Die schriftliche Beschreibung einer klinischen Studie, in der ihre Ziele, das Studiendesign und die Methoden sowie die Einschluss- und Ausschlusskriterien festgehalten sind.

Siehe auch: [Ausschlusskriterien](#); [Einschlusskriterien](#)

Präklinisch

Forschung, die nicht am Menschen durchgeführt wird. Bevor ein Arzneimittel in das Stadium der klinischen Versuche gelangen kann, müssen die Machbarkeit und Sicherheit in präklinischen Modellen bewertet werden.

Randomisiert

Eine Strategie, bei der die Teilnehmer einer klinischen Studie mithilfe eines methodischen Verfahrens, das den Zufall imitiert, in Gruppen aufgeteilt werden. In placebokontrollierten Interventionsstudien wird eine Teilnehmergruppe nach dem Zufallsprinzip ausgewählt, die Intervention zu erhalten, die andere bekommt ein Placebo.

Siehe auch: [Placebo](#)

Rekrutierung

Dieser Begriff gibt an, dass eine Studie zur Teilnahme offensteht und Freiwillige sucht.

SNCA

Ein Gen, das die Produktion des Proteins Alpha-Synuclein steuert. Eine Mutation im Gen SNCA ist die Grundlage einer seltenen erblichen Form der Parkinson-Krankheit.

Siehe auch: [Alpha-Synuclein](#)

Statistische Signifikanz

Ein Wert, der angibt, ob die Ergebnisse einer Studie mit hoher Wahrscheinlichkeit richtig sind oder auch reinem Zufall geschuldet sein könnten. Dabei ist wichtig zu beachten, dass statistische Signifikanz nichts über die Wichtigkeit aussagt.

Studienarm

Eine bestimmte Teilnehmergruppe in einer klinischen Studie. In einer Interventionsstudie beispielsweise würde ein Studienarm die experimentelle Behandlung erhalten und ein anderer Studienarm ein Scheinmedikament (Placebo).

Siehe auch: [Interventionsstudie](#)

Studienleiter

Der Forscher, oftmals ein Arzt, der die gesamte klinische Studie überwacht und leitet.

Studiensponsor

Der Studiensponsor ist die Person oder Organisation, die eine Studie überwacht. Der Sponsor initiiert die Studie, führt sie durch und trägt die Verantwortung für die Forschung.

Symptomatische Therapie

Eine Behandlung, die die Symptome einer Krankheit lindert, nicht aber auf den zugrundeliegenden Krankheitsprozess einwirkt. Alle aktuell verfügbaren Parkinson-Therapien sind symptomatisch; sie verlangsamen nicht das Fortschreiten der Krankheit.

Teilnahmekriterien

Richtlinien, wer an einer bestimmten klinischen Prüfung teilnehmen kann und wer nicht. Diese Kriterien setzen sich aus bestimmten Merkmalen zusammen, etwa Alter, Geschlecht, zeitlicher Abstand der Diagnose, Stadium der Parkinson-Erkrankung und andere Krankheiten. Die Teilnahmekriterien bestehen aus Einschluss- und Ausschlusskriterien.

Siehe auch: [Ausschlusskriterien](#); [Einschlusskriterien](#)

Telemedizin

Ein Teilbereich im Gesundheitswesen, in dem Patienten und ihr Arzt oder sonstige medizinische Fachkräfte auf elektronischem Wege interaktiv (in beide Richtungen) und in Echtzeit kommunizieren.

Therapiedurchbruch-Status

Ein Sonderstatus, den die US-Arzneimittelbehörde FDA vergibt, um die Entwicklung und Prüfung neuer Therapien zu beschleunigen, die zur Behandlung schwerwiegender Erkrankungen eingesetzt werden sollen. Dies geschieht, wenn die ersten Ergebnisse klinischer Studien darauf hinweisen, dass das Arzneimittel wirksamer sein könnte als bislang verfügbare Therapien.

Siehe auch: [Wirksamkeit](#); [Food and Drug Administration \(US-Behörde für Arzneimittel- und Lebensmittelsicherheit\)](#)

Umwidmung

Die Verwendung eines vorhandenen (und in der Regel durch eine staatliche Organisation zugelassenen) Arzneimittels, das für eine bestimmte Krankheit entwickelt wurde, zur Behandlung einer anderen Krankheit. Zur Umwidmung einer Therapie sind klinische Versuche erforderlich, um sicherzustellen, dass sie für Parkinson-Patienten sicher und wirksam ist.

Unerwünschtes Ereignis

Eine ungünstige Änderung des Gesundheitszustandes, die im Rahmen einer klinischen Studie oder innerhalb eines bestimmten Zeitraums nach ihrem Abschluss auftritt. Der Schweregrad kann von leicht (z. B. Übelkeit) bis schwerwiegend oder lebensbedrohlich (z. B. Schlaganfall) reichen. Diese Änderung kann mit der untersuchten Intervention in Verbindung stehen, muss aber nicht.

Siehe auch: [Intervention](#)

UPDRS-Skala (Unified Parkinson's Disease Rating Scale)

Die UPDRS-Skala ist eine Bewertungsskala, die eine klinische Untersuchung der motorischen Symptome ebenso berücksichtigt wie einen Fragebogen über tägliche Aktivitäten, nicht-motorische Symptome und Nebenwirkungen von Medikamenten. Diese Skala wird in ihrer Gänze oder in Teilen oft herangezogen, um in klinischen Parkinson-Studien die Reaktion auf Interventionen zu bewerten.

Verblindung

Eine Strategie für klinische Studien, bei der Studienmitarbeiter und Teilnehmer nicht wissen, welche Teilnehmer ein Placebo (ohne wirksame Substanzen) und welche die Intervention, also die experimentelle Behandlung, erhalten.

In einer einfach verblindeten Studie weiß nur eine Gruppe (Studienmitarbeiter oder Teilnehmer), welche Teilnehmer ein Placebo und welche die Intervention bekommen. Ist die Studie doppelblind, weiß es keine der beiden Gruppen.

Siehe auch: [Intervention](#); [Placebo](#)

Verträglichkeit

Das Ausmaß, in dem die Wirkung eines Arzneimittels oder einer Therapie vom Patienten vertragen wird oder in dem sie den Lebensstil oder die täglichen Aktivitäten des Patienten beeinflusst.

Virtuelle Studie

Studien, die online oder über andere digitale Kanäle (z. B. Smartphones, Telefon usw.) durchgeführt werden. Virtuelle Studien sind eine Ergänzung der herkömmlichen Forschung; sie geben Teilnehmern, die an herkömmlichen klinischen Versuchen nicht teilnehmen könnten (etwa aufgrund von Transportschwierigkeiten oder Mobilitätsproblemen), die Möglichkeit, einen Beitrag zur Forschung zu leisten. Diese Studien sind außerdem wertvoll, weil sie Daten jenseits der „Momentaufnahmen“ im persönlichen Gespräch eines Studientermins liefern.

Wearable

Ein Gerät, das getragen werden kann (z. B. Smartwatch, Fitnesstracker), um gesundheitsbezogene Informationen wie Bewegung, Schlaf oder Herzfrequenz zu erfassen. Daten aus Wearables ergänzen die herkömmliche Forschung, da sie objektive und dauerhafte Einblicke in das tägliche Leben mit Parkinson geben.

Siehe auch: [digitale Gesundheit](#)

Wirksamkeit

Eine Messgröße für die Fähigkeit eines Arzneimittels, eine bestimmte Erkrankung zu behandeln. Die Wirksamkeit sagt nichts über die Verträglichkeit oder die Anwendungsfreundlichkeit aus. So kann ein Arzneimittel sehr wirksam, gleichzeitig aber so unangenehm einzunehmen sein, dass es de facto nur sehr eingeschränkten Wert besitzt. Die Wirksamkeit (wie auch die Verträglichkeit und Sicherheit) werden in klinischen Prüfungen ermittelt.

Siehe auch: [Verträglichkeit](#)

Danksagungen

GRÜNDER

Michael J. Fox

CHIEF EXECUTIVE OFFICER

Todd Sherer, PhD

MITGRÜNDER & EXECUTIVE VICE CHAIRMAN

Deborah W. Brooks

DEPUTY CHIEF EXECUTIVE OFFICER

Sohini Chowdhury

SENIOR VICE PRESIDENT, COMMUNICATIONS & CONTENT STRATEGIES

Holly Teichholtz

VICE PRESIDENT, MEDICAL

COMMUNICATIONS

Rachel Dolhun, MD

MEDIZINISCHE PRÜFUNG

Claire Henchcliffe, MD, PhD

FOTOGRAFIE

Chris Sanders

LAYOUT

Simplissimus

BESONDERER DANK

Unser Dank gilt allen Mitgliedern der Parkinson-Community, die ihre Schwierigkeiten, Hoffnungen, Vorstellungen und Erfahrungen mit der klinischen Parkinson-Forschung in dieses Projekt einfließen ließen: Susan Bressman, MD, Clyde Campbell, dem Mitglied des Patientenbeirats Karen Jaffe und ihrem Mann Marc, Dan Kinel, Patti Meese, Ofer Nemirovsky, Gary Rafaloff, Kae und Steven Spencer, Manny Torrijos und Jennifer Verbrugge, MS, CGC, LGC.

Aufsichts- und Beiräte

VORSTAND

Jeff Keefer, *Vorsitzender*
Skip Irving, *Stellvertretender Vorsitzender*
Holly S. Andersen, MD
Glenn Batchelder
Mark Booth
Jon Brooks
Barry J. Cohen
Andrew Creighton
John S. Daly
Donny Deutsch
David Einhorn
Karen Finerman
Lee Fixel
Nelle Fortenberry
Michael J. Fox
Akbar Gbajabiamila
Willie Geist
David Glickman
David Golub
Mark L. Hart III
Edward Kalikow
Amar Kuchinad
Marc S. Lipschultz
Ofer Nemirovsky
Andy O'Brien
Douglas I. Ostrover
Tracy Pollan
Ryan Reynolds
Frederick E. Rowe
Lily Safra
Carolyn Schenker
Curtis Schenker
Richard J. Schnall
Woody Shackleton
Anne-Cecilie Engell Speyer
George Stephanopoulos
Bonnie Strauss
Rick Tigner
Fred G. Weiss
Sonny Whelen
Peter Zaffino

STIFTUNGSRAT

Lonnie und Muhammad Ali
Steven A. Cohen
Albert B. Glickman
John Griffin
Andrew S. Grove
Katie Hood
Jeffrey Katzenberg
Morton M. Kondracke
Edwin A. Levy
Nora McAniff
Donna Shalala, PhD

FÜHRUNGSRAT

Richard Fitzgerald, *Vorsitzender*
Daisy Prince, *Stellvertretende Vorsitzende*
Omar Abdel-Hafez
Shakeeb Alam
Loren Berger
Felix Bhandari
Susan Bilotta
Zachary Brez
Dev Chodry
Taryn Fixel
Michael Kaplan
Julia Kelly
Justin Lepone
Pamela Mirels
Rafi Rosman
Scott Scheffrin
Bill Shepherd
Ryan Squillante

PATIENTENBEIRAT

David Iverson, *Mitvorsitzender*
Soania Mathur, MD, *Mitvorsitzende*
Carl Bolch, Jr.
Eugenia Brin
Ken Cater
Christopher Chadbourne
Carey Christensen
Rich Clifford
Quentin Dastugue
Steve DeWitte
Anne Cohn Donnelly, D.P.H.
David Eger, PhD
Bill Geist

Cindy Gray
Lynn Hagerbrant
Karen Jaffe, MD
Nicole Jarvis, MD
Tony Mendez
Hilton Mirels, MD
Bret Parker
Eric Pitcher
Bryan Roberts
Israel Robledo
Richie Rothenberg
Margaret Sheehan
Dan Suwyn
W. N. (Bill) Wilkins

WISSENSCHAFTLICHER BEIRAT

Bastiaan Bloem, MD PhD
Alice Chen-Plotkin, MD
Ted Dawson, MD PhD
John Dunlop, PhD
Steve Finkbeiner, MD PhD
Tatiana Foroud, PhD
Warren Hirst, PhD
Karl Kiebertz, MD
Ken Marek, MD
Connie Marras, MD PhD
Kalpana Merchant, PhD
Michael Schwarzschild, MD PhD

BEIRAT FÜR ÖFFENTLICHKEITSARBEIT

Melissa Blechman
Phil Cox
Quentin Dastugue
Tom Davidson
Douglas L. DuMond
Col. Karl E. Friedl, PhD, Ret.
David Higgins, PhD
Julius W. Hobson Jr.
Matt Keswick
Rod Larson
Jessica Lawrence-Vaca
Daniel Lewis, JD
Monnie Lindsay, JD
Jim McNasby, JD
Jeff Strunk
Anne J. Udell, PhD

Index

Alpha-Synuclein	Fox Insight	Krankheitsmodifizierende Therapien	Randomisiert
10, 29, 46, 47, 50	8, 13, 24, 26, 43	8, 10, 24, 27, 48	8, 15, 50
Ausgangsdaten	Fox Trial Finder	LRRK2	Rekrutierung
46	5, 13, 14, 15, 41, 42	31, 35, 49	50
Ausschlusskriterien	Freiwilliger für die Kontrollgruppe	Lumbalpunktion	SNCA
11, 16, 24, 46, 50	47	17, 49	29, 31, 46, 50
Beobachtungsstudie	Gaucher-Krankheit	Längsschnittstudie	Statistische Signifikanz
8, 11, 12, 21, 23, 24, 27, 40, 43, 46,	47	49	50
47, 48, 49	GBA	Magnetresonanztomographie	Studienarm
Biomarker	31, 32, 47	(MRT)	49, 50
12, 21, 37, 43, 46, 49, 50	Geldgeber	49	Studienleiter
Computertomographie (CT)	2, 16, 47	Motorische Symptome	3, 50
46	Gen	10, 21, 25, 51	Studiensponsor
DaTscan	11, 29, 30, 31, 32, 33, 34, 35, 48	Multizentrische Studie	50
46	Genetische Mutation	49	Symptomatische Therapie
De-novo-Parkinson	31, 48	Neuroprotektive Behandlung	50
21, 46	Genetischer Berater	49	Teilnahmekriterien
Demenz	30, 34, 37, 38, 48	Neuroregenerative Behandlung	42, 48, 50
10, 19, 24	Gentest	49	Telemedizin
Digitale Gesundheit (siehe auch	32, 33, 34, 36, 37, 38, 40, 45, 48	New Drug Application	13, 47, 50
Telemedizin, virtuelle Studie,	Hoehn & Yahr Skala	(NDA, Zulassungsantrag)	Therapiedurchbruch-Status
Wearable)	48	49	10, 50
46, 51	Idiopathische Parkinson-Krankheit	Nicht-motorische Symptome	Umwidmung
Dyskinesie	47, 48	21, 25, 51	48, 51
10, 19, 24	Initiative zu Progressionsmarkern	Offene Studie (Open-label-Studie)	Unerwünschtes Ereignis
Einschlusskriterien	der Parkinsonkrankheit (Parkinson's	49	51
47, 50	Progression Markers Initiative;	Patienteneinwilligung	UPDRS-Skala (Unified Parkinson's
Endpunkt	PPMI)	9, 34, 47, 49	Disease Rating Scale)
47	12, 37, 43	Placebo	51
Ergebnisse aus	Intervention	8, 9, 15, 16, 21, 40, 48, 49, 50, 51	Verblindung/Blind oder
Patientenbefragungen	11, 13, 16, 43, 46, 47, 48, 49, 50, 51	Placeboeffekt	„doppelblind“
47	Interventionsstudie	49	8, 49, 51
Ethikkommission	8, 11, 17, 22, 40, 47, 48, 50,	Placebokontrolliert	Verträglichkeit
9, 47	Klinischer Versuch	9, 16, 21, 48, 49, 50	51
Europäische Arzneimittel-Agentur	49	Positronen-Emissions-Tomographie	Virtuelle Studie
(EMA)	Klinische Studie	(PET)	47, 51
47	3, 7, 9, 10, 11, 13, 14, 15, 16, 20,	50	Wearable
Familiäre Parkinson-Krankheit	21, 22, 26, 29, 41, 42, 43, 46, 48,	Protokoll	13, 47, 51
47, 48	49, 50, 51	8, 9, 16, 33, 47, 50	Wirksamkeit
Food and Drug Administration	Kohorte	Präklinisch	7, 8, 9, 10, 21, 51
(US-Behörde für Arzneimittel- und	48	49, 50	
Lebensmittelsicherheit, FDA)	Kontrollierte Studie	Präzisionsmedizin	
10, 47, 49, 51	8–9, 48	10, 31, 39	

Orientierung in klinischen Studien: Ein Leitfaden für Parkinson-Patienten und ihre Familien *wurde im April 2018 von der Michael J. Fox Stiftung für Parkinson-Forschung veröffentlicht.*

Aktuelles zur Forschung sowie eine kostenlose digitale Version dieser Publikation und ergänzendes Online-Infomaterial finden Sie unter michaeljfox.org/ParticipantPack.

Die Michael J. Fox Stiftung für Parkinson-Forschung (Michael J. Fox Foundation for Parkinson's Research, MJFF) dankt den Mitgliedern des Lenkungsausschusses des 2017 Parkinson's Disease Education Consortiums (Bildungsgemeinschaft für Parkinson), einer Allianz von Biotechnologie- und Pharmaunternehmen, die unser Engagement für die Bereitstellung qualitativ hochwertiger weiterbildender Informationsmaterialien für die Parkinson-Gemeinschaft unterstützen. Durch Corporate Sponsoring sind wir in der Lage, Materialien wie die Parkinson-Studie „Companion-Suite“ zusammenzustellen und zu verteilen. Gleichzeitig setzen wir unsere Erfolgsbilanz bei der effizienten Koordinierung von Spendenbeiträgen fort, um den größtmöglichen Einfluss auf die Entwicklung von Parkinson-Medikamenten zu nehmen. Wir sind stolz darauf, dass seit der Gründung 88 Cents von jedem für die MJFF gespendeten Dollar direkt in programmspezifische Aktivitäten investiert wurden, um bahnbrechende Behandlungsmöglichkeiten und ein Heilmittel für Parkinson zu finden.

Erfahren Sie mehr über das Parkinson's Disease Education Consortium unter michaeljfox.org/sponsors.

Während das Bildungsangebot der MJFF durch die großzügige Unterstützung des Konsortiums ermöglicht wird, sind alleine wir für den Inhalt verantwortlich.



michaeljfox.org
800-708-7644

 michaeljfoxfoundation
 @michaeljfoxorg
 @michaeljfoxorg
 michaeljfox



Parkinson's Disease
Education Consortium



THE MICHAEL J. FOX FOUNDATION
FOR PARKINSON'S RESEARCH