

Therapieforschungszentrum für seltene Erkrankungen Tübingen Innovatives Studienmanagement ermöglicht effektivere Studienlage.

O Rieß, C Jäggle, H Graebner

Das ZSE Therapieforschungszentrum Tübingen

Im April 2013 hat das ZSE Tübingen das Deutschland-weit erste Therapieforschungszentrum für seltene Erkrankungen gegründet, um für klinische Therapiestudien von seltenen Erkrankungen eine Infrastruktur zu schaffen.

In der Zusammenarbeit mit den Spezialzentren des ZSE und der medizinischen Infrastruktur des Universitätsklinikums Tübingen ist eine stärkere Bündelung der Forschung für einen schnellen Wissenstransfer in die klinische Anwendung und eine unmittelbare Einbeziehung von Patienten in frühe Therapiestudien möglich.



Anforderungen bei der Durchführung von Studien



Das Problem

- **Anforderungen an die Qualität bei der Durchführung von Studien** sind entscheidend gestiegen und können durch die beteiligten Prüfarzte allein nur unzureichend umgesetzt werden.
- Die akademischen Zentren sind auf den **personellen und finanziellen Mehraufwand** nicht eingestellt.
- Die **Umsetzung der komplexen Regularien** wird in der Praxis klinischer Forschung unter den gegebenen Rahmenbedingungen v.a. durch dafür fehlende notwendige finanziellen und personellen Ressourcen behindert.
- Personen und Einrichtungen, die nicht in der Planung und Durchführung klinischer Prüfungen erfahren sind, scheitern bereits am **komplexen Antragsverfahren**.

Unsere Lösungen:

- **Der Schlüssel zum Erfolg:**
Zeitnahe Support in allen Studienphasen
Kein zeitliches Limit
Kein Service-Vertrag
Zentren übergreifend



- **Zentrales Studienmanagement:** Medical Writing/ Scientific Publishing, Beratung von Ärzten/ Sponsoren bei der Planung, Projektmanagement, Kommunikation mit Projektteam/Sponsor/Auftraggeber, Erstellung von Projekt-, Risikomanagement- und Finanzplänen, Einreichung bei lokalen/ zentralen Behörden, Vorbereitung von Audits/ Inspektionen, Koordination von Feasibility-Anfragen und Akquisitionsvorhaben, Pharmakovigilanz

- **Tagesklinik:** In Vorbereitung
- **Förderung:** 1 - 2 klinische Therapie-/ Biomarkerstudien p.a. mit therapeutischem Fokus, Fördervolumen: 60.000 € p.a.
- **Stiftungen:** Antragstellung z.B. Margarete Müller-Bull –Stiftung, Eva Luise & Horst Köhler Stiftung
- **Kooperation & Standards:** Zentrum für Klinische Studien (ZKS), Center for Pediatric Clinical Studies (CPCS) => Nutzung gemeinsamer Studienressourcen, GCP-konforme Durchführung klinischer Studien klinikumsweit



Die Erfolge 2013 – 2019: Studien/Projekte • Beratungen 65 • in Vorbereitung 5 • laufend 15 • abgeschlossen 8

- Effects of intensive motor training in cerebellar ataxia - a multicenter, randomized controlled comparative trial (abgeschlossen)
- Statin Treatment of Oxysterol Pathology in SPG5: a randomized controlled trial - proof of principal (abgeschlossen)
- Haben Kinder mit einer Pierre Robin Sequenz eine schlechtere Sprechentwicklung nach Gaumenspaltschluß? (abgeschlossen)
- Combined dry powder Tobramycin and nebulized Colistin inhalation in Cystic fibrosis patients (abgeschlossen)
- Individualized Exergame Training Improves Postural Control in Advanced Degenerative Spinocerebellar Ataxia: a Rater-blinded, Intra-individually Controlled Trial (abgeschlossen)
- Slowing down disease progression in premanifest SCA: a piloting interventional exergame trial (SlowSCA) (abgeschlossen)
- Motor-cognitive IT Games for Therapy of Neurodegenerative Diseases (abgeschlossen)
- Speech and swallowing assessment and speech rehabilitation trial in degenerative ataxias (abgeschlossen)
- Sicherheit und Verträglichkeit der Anwendung von Mesenchymalen Stammzellen zur immunmodulatorischen Therapie bei pädiatrischer Lebertransplantation durch Lebendspende (laufend)
- Prophylaktische Behandlung der hemiplegischen Migräne mit Lamotrigin (laufend)
- Pathophysiologie-basierte Therapie von Patienten mit epileptischen Enzephalopathien (laufend)