

## Voraussetzungen der Zulässigkeit offener Anschlussstudien

### 1. Offene Anschlussstudie mit Arzneistoffen, die bereits im Handel sind (so dass die Langzeitverträglichkeit verhältnismäßig gut bekannt ist)

Eine offene Anschlussstudie ist **vertretbar**,

- wenn ein individueller Nutzen möglich ist,
- die Indikation zur Therapie plausibel ist,
- eine klinisch gut messbare Zielgröße (Blutzucker, Blutdruck, Rückgang der Zahl der epileptischen Anfälle)
- eine unkomplizierte Verlaufsbeobachtung ermöglicht.
- die Wirksamkeit bei einer neuen Indikation muss dabei noch nicht gesichert sein.

### 2. Offene Anschlussstudie mit neuen Arzneistoffen (die nicht im Handel als Fertigarzneimittel erhältlich sind)

Eine offene Anschlussstudie ist **erst vertretbar**,

- wenn die Wirksamkeit bei der angestrebten Indikation in mindestens einer Phase III-Studie gesichert ist,
- die Indikation klinisch wichtig ist, z.B. weil bisher keine ausreichenden Therapiemöglichkeiten bestehen,
- die Substanz in der Tiertoikologie keine bedenklichen Befunde ergeben hat (z.B. nicht mutagen ist), es sei denn, es handelt sich um einen Wirkstoff für eine vitale Indikation,
- das Data Safety Monitoring Board (DSMB) vor Beginn der Anschlussstudie ein schriftliches Approval auf der Basis der bisher vorliegenden Ergebnisse abgegeben hat. Bis dahin sollten Patienten eines Zentrums/einer Region verblindet weiterhin die Medikation der Vorläuferstudie erhalten (egal, ob Verum oder Placebo bzw. Referenzpräparat), bis der letzte Patient in diesem Zentrum/dieser Region die Vorläuferstudie beendet hat.
- Der Sponsor hat ausreichend Prüfsubstanz zur Verfügung zu stellen.

### 3. Eine offene Anschlussstudie ist **geboten**,

- wenn eine vitale Indikation besteht, z.B. neues Antiarrhythmikum bei einem Patienten, der bereits ein ICD hat und wegen fortbestehender lebensbedrohlicher Arrhythmien zusätzlich ein Antiarrhythmikum benötigt, dieser Arzneistoff muss bei dem betreffenden Patienten nachgewiesenermaßen wirksam sein;
- wenn eine Therapieunterbrechung zu einer erheblichen Störung einer lebenswichtigen stabilen Therapie führen würde, z.B. neues Insulin, mit dem eine gute und stabile Stoffwechselführung ermöglicht würde.

## **Zusammenfassung**

Entscheidend sind

- der Zulassungsstatus bzw. der Status der Arzneimittelentwicklung mit dem Kenntnisstand zu möglichen bereits vorhersehbaren Risiken oder dem Fehlen solcher Risiken
- die Dringlichkeit der Indikation
- der mögliche individuelle Nutzen bzw. das Nutzen/Risiko-Verhältnis,
- das Approval des Data Safety Monitoring Board