



Die bestmögliche Versorgung von Kindern mit Arzneimitteln

Forderungen des Kindernetzwerk e.V. / Juni 2022

Kinder und Jugendliche werden in Deutschland sehr häufig mit für sie nicht zugelassenen Arzneimitteln behandelt („off-label-use“). Der Prozentsatz liegt bei ca. 65-90%, abhängig vom jeweiligen Alter und der Art der Krankheit.¹ Je jünger die Kinder sind, desto höher ist in der Regel der Anteil der ohne entsprechende Zulassung genutzten Medikamente. Diese Situation ist dem Großteil der Bevölkerung nicht bewusst.

Arzneimittelversorgung

Ein wesentlicher Aspekt ist hier die Verfügbarkeitssicherheit der Medikamente. Sie muss besser als bislang gewährleistet werden, dass es nicht zu Lieferengpässen kommt. Diese haben seit Beginn der Corona-Pandemie deutlich zugenommen. Neben stabileren globalen Lieferketten braucht es zur Gewährleistung einer zuverlässigen Versorgung auch Produktionsstätten in Europa. Die dafür notwendigen Rahmenbedingungen müssen dringend geschaffen werden.

Anreize zur Erforschung von Kinderarzneimitteln

Wichtig ist hier die konsequente Umsetzung des Artikels 39 der EU-Kinderarzneimittelverordnung, der die EU-Mitgliedsstaaten auffordert, Anreize zur Unterstützung von Forschung, Entwicklung und Verfügbarkeit von Arzneimitteln für die pädiatrische Verwendung zu schaffen.

„Wunschzettel“ unserer Mitglieder an die Hersteller

Bei den Darreichungsformen müssen Kinder und Jugendliche mit Behinderungen stärker als bislang in den Blick genommen werden, viele von ihnen z.B. mit einer Körperbehinderung haben Schluckschwierigkeiten. Hier braucht es weit mehr kindgerechte Arzneimittel - ideal als Saft oder Zäpfchen, da auch das Teilen und Mörsern von Dragees oder Tabletten oft Probleme bereiten. Außerdem bitten wir darum, dass mehr Medikamente mit neutralem/„gutem“ Geschmack hergestellt werden, denn viele werden wegen des ungewohnten/unguten Geschmacks von den Kindern und Jugendlichen abgelehnt.

¹ <https://www.aerzteblatt.de/archiv/63002/Off-label-Gebrauch-von-Arzneimitteln-im-Kindes-und-Jugendalter>
Und <https://link.springer.com/article/10.1007/s00112-022-01418-7>

Leider stimmen auch häufig die Angaben der Hersteller zur Sondengängigkeit ihrer Arzneimittel nicht mit den Alltagserfahrungen der Familien überein - deren Feedback muss stärkere Beachtung finden, so auch bei den Angaben zur Dosierung der Arzneimittel: Die zeitlichen Abstände der Medikamentengaben müssen besonders bei Kleinkindern gegebenenfalls längere Schlafphasen berücksichtigen. Zudem sollte regelhaft statt des Alters das Körpergewicht der Patient:innen als Referenz Verwendung finden.

Ärztliche Versorgung

Nötig ist eine ausführlichere Anleitung der Eltern (u.a. zum Thema Arzneimittelallergie) durch Stärkung der Beratung in der sprechenden Medizin sowie ein umgehender Abbau der "Überweisungs- und Verordnungsbürokratie".

Eltern- und Patientenbeteiligung junger Menschen im G-BA weiter stärken!

Dringend müssen die Interessen von Kindern und Jugendlichen im G-BA stärker als bisher in den Mittelpunkt gestellt werden - durch Mitsprache- und Mitentscheidungsrechte für betroffene Eltern, sowie kinder- und jugendspezifische Selbsthilfe- und Patientenorganisationen. **Diese Forderung sollten politisch als erste umgesetzt werden. Es ist wichtig, dass Kinder und deren Interessen im G-BA mehr Gewicht erhalten!**

Klinische Prüfungen – mit mehr Einbezug der Betroffenen von Beginn an

Um den off-label-use zu reduzieren, sind entsprechende Zulassungsstudien für Kinder und Jugendliche (unter anderem auch mit geeigneten Darreichungsformen speziell für Kleinkinder und Kinder) dringend notwendig. Eine erfolgreiche Durchführung solcher klinischer Prüfungen erfordert sehr hohen Aufwand mit regulatorischen Voraussetzungen. Hier sind mehrere Hürden in der Realisierung klinischer Prüfungen zu nennen, von teilweise sich widersprechenden rechtlichen Vorgaben über von der Anzahl der Studienzentren mit entsprechender Ausstattung als auch, die Aufklärung der Kinder und Jugendlichen sowie deren Eltern. Dabei müssen auch ihre Ängste und Bedenken bzgl. einer Studienteilnahme ernstgenommen und durch eine umfassende Aufklärung ausgeräumt werden. Idealerweise werden beteiligte Eltern, Kinder und Jugendliche in alle Aspekte und Stadien, also auch schon in das Erstellen des Studiendesigns, einbezogen.

Evidenzgenerierung

Insbesondere die Durchführung klinischer Prüfungen zur Evidenzgenerierung in der Pädiatrie ist teils zu kompliziert und hat unterschiedliche Herausforderungen. Denn beispielsweise das Einfordern sehr großer Probandenzahlen wie bei klinischen Prüfungen bei Erwachsenen ist gerade für pädiatrische Prüfungen oft nicht erreichbar. Eine Lösung wäre hier, die zusätzlichen Möglichkeiten der Evidenzgenerierung zu akzeptieren:

- > so z.B. durch die Anerkennung generierter Evidenz auf Basis der Verwendung gut geführter Register sowie von Pharmakovigilanz- und Literaturdaten,
- > durch breite Anerkennung von wissenschaftlich weiterentwickelten Methoden zur Übertragung von Evidenz in der Untersuchung von Erwachsenen auf Kinder (z.B. Extrapolation o.ä.), die helfen, die Zahl der klinischen Studien an Kindern auf das unbedingt erforderliche Maß zu reduzieren
- > durch eine Anpassung an die Besonderheiten der Evidenzgenerierung bei Kindern und Jugendlichen im Einklang mit den ethischen Vorgaben
- > durch die systematische Erfassung des off-label-Gebrauchs, um Sicherheitsdaten für später notwendige klinische Prüfungen zu generieren

Bessere Berücksichtigung von kindgerechten Darreichungsformen

Ein Zusatznutzen sollte bei Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche per se als belegt angesehen werden, da ein bis dato im off-label use verwendetes Arzneimittel für Erwachsene in eine in-label Situation überführt wird. Gleichzeitig wird eine kindgerechte Darreichungsform insbesondere für die Behandlung von jüngeren Kindern zur Verfügung gestellt. Die Vorlage für die erforderlichen Dokumente für das Verfahren der frühen Nutzenbewertung zur Bestimmung des Ausmaßes des Zusatznutzens sollte durch den G-BA an die Besonderheiten von PUMA-Arzneimittel angepasst werden (z.B. Berücksichtigung von kindgerechten Darreichungsformen und vorliegende Evidenz bei Erwachsenen).

Runden Tisch zur Kinderarzneimittelversorgung wieder einberufen

Wir schlagen vor, an einem Runden Tisch mit allen Beteiligten die Herausforderungen auf gesetzlicher Ebene zu identifizieren und Lösungsmöglichkeiten zu erarbeiten. Zusätzlich sollte die Teilnahmebereitschaft der betroffenen Familien z.B. durch eine allgemeine Aufklärungskampagne der BZgA zu Arzneimittelstudien für Kinder und Jugendliche zu erhöhen und zugleich eine ausreichende Finanzierung der an den Interessen dieser Altersgruppe orientierten Forschung sicherzustellen.

Zu uns:

Das Kindernetzwerk vertritt als bundesweite Plattform der Selbsthilfe Elterninitiativen, Selbsthilfeverbände auf regionaler Ebene, Beratungsstellen sowie rund 150 Bundesverbände mit rund 200.000 angeschlossenen Mitgliedern.

Mehr zu uns hier: <https://www.kindernetzwerk.de>

Dr. Annette Mund,
Vorsitzende des Kindernetzwerk e.V.

Kathrin Jackel-Neusser und Dr. med. Henriette Högl,
Geschäftsführerinnen des Kindernetzwerk e.V