

„Aus Groß mach Klein – **Herausforderungen und Lösungsansätze bei der Versorgung mit Kinderarzneien**“

Kooperationsveranstaltung von knw Kindernetzwerk e.V. und dem Verband forschender Arzneimittelhersteller e.V. (vfa)

Damit Sie den Überblick behalten

Das Inhaltsverzeichnis

Ziel und Inhalt der gemeinsamen Veranstaltung.....	3
Input zur Thematik aus der Fraktion der SPD.....	4
Herausforderungen bei der Einnahme zahlreicher Kindermedikamente aus Sicht einer Mutter.....	5
Input zur Thematik aus der Fraktion DIE LINKE.....	7
Herausforderungen aus Sicht eines pharmazeutischen Unternehmens	8
Was sollte sich aus Sicht der Selbsthilfe ändern?	10
Abschließende gemeinsame Diskussion und Forderungen an die Politik	12
Weitergehende Fragen? Nehmen Sie Kontakt auf	16
Alles was Recht ist: Impressum.....	17

Ziel und Inhalt der gemeinsamen Veranstaltung: Aus Groß mach Klein

Herausforderungen und Lösungsansätze bei der Versorgung mit Kinderarzneien

Das Kindernetzwerk e.V. für Kinder, Jugendliche und (junge) Erwachsene mit chronischen Krankheiten und Behinderungen (knw) dient seit nunmehr über 25 Jahren vor allem den Eltern, deren Kindern, Jugendlichen oder jungen Erwachsenen, die chronisch krank oder behindert sind, die eine seltene oder schwerwiegende Erkrankung haben oder entwicklungsverzögert sind.

Es bietet nicht nur diesen, sondern auch den Fachleuten gezielte Informationen, Transparenz und auch sein vernetztes Wissen an. Dabei spielt unter anderem das Bestreben nach einer kindgerechten Arzneimittelversorgung insbesondere auch mit neuen Medikamenten speziell für Kinder eine zentrale Rolle. Zu diesen Themenfeldern haben das knw und der vfa in der Vergangenheit bereits gut und vertrauensvoll zusammengearbeitet.



Für Kinder und Jugendliche mit seltenen und chronischen Erkrankungen und Behinderungen ist es nicht leicht: Obwohl die Therapiemöglichkeiten immer besser werden, gibt es bei der medizinischen Versorgung noch immer gravierende Mängel.

Ein Grundproblem stellt der häufige Off-Label-Gebrauch dar: Arzneimittel sind meistens nur an Erwachsenen getestet – 90 Prozent der verabreichten Medikamente beispielsweise in der Neonatologie sind vor Verabreichung nie an Kindern getestet worden.

Der sogenannte Off-Label-Gebrauch ist leider gängige Praxis: Ärzt:innen schätzen eine „geringere“ Dosierung eines Medikamentes für Kinder und Jugendliche fallabhängig selbstständig ab, manchmal verbunden mit Nachteilen für die kleinen Patient:innen.

In der Onlineveranstaltung, die am 3. Mai 2022 von knw und vfa veranstaltet und von Kathrin Jackel-Neusser, Geschäftsführerin des knw, moderiert wurde, ging es um den aktuellen Sachstand dieser Problemlage, vor allem aber um konstruktive Lösungsvorschläge.

Die folgende Dokumentation fasst die Veranstaltung zusammen.

Input zum Thema Kinderarzneien aus der Fraktion der SPD **Martina Stamm Fibich, MdB (SPD)**

Martina Stamm Fibich, MdB (SPD), Ausschuss für Gesundheit, zuständig u.a. für Arzneimittel, Medizinprodukte, Patientenrechte, Heil- und Hilfsmittel sowie seltene Erkrankungen, referierte aus der Sicht der Politik und bemängelte, dass trotz politischer Reformen kranke Kinder auf dem Arzneimittelmarkt noch immer viel zu kurz kämen.



Für eine frühe Nutzungsbewertung würden breite Studien gemacht, die aber leider häufig nicht mit Kindern durchgeführt würden – daher seien die Ergebnisse eben auch nicht auf Kinder übertragbar. Auch bei Produkten, die bereits im Markt seien, tue sich wenig. 15 Jahre nach Einführung der PUMA-Zulassung sei das Ergebnis enttäuschend. In den letzten drei Jahren sei keine einzige PUMA-Zulassung durchgeführt worden – die Verordnungen zur Regelung von klinischen Studien mit Kindern seien ihrer Meinung nach zu strikt. Eine Lösung könnten Sonderzulassungen für reine pädiatrische Arzneimittel sein, die analog zum jetzigen Orphan-Drug-Status ausgestaltet sind. Unternehmen hätten so einen wirtschaftlichen Anreiz zur Entwicklung von Arzneimitteln, die dezidiert in der Pädiatrie eingesetzt werden könnten. So könnte zum Beispiel die Zahl der Medikamente in der Kinder-Onkologie, wo es derzeit nur sehr wenige für Kinder zugelassene Behandlungsoptionen gibt, erhöht werden.

Martina Stamm Fibich, (SPD) ist seit 2014 Mitglied des Deutschen Bundestags, seit 2018 Patientenbeauftragte und für die SPD-Berichterstatterin für die Themen Seltene Erkrankungen, GBA-Reformen, Heil- und Hilfsmittel, Arzneimittel sowie Patientenrechte. Von 2006 bis zu ihrer Wahl in den Bundestag war sie Betriebsrätin bei Siemens Healthcare in Erlangen.

Herausforderungen bei der Einnahme zahlreicher Kindermedikamente Sicht einer Mutter



Anne Hawranke, Mitglied der knw-Mitgliedsorganisation Leona e.V. und **erfolgreiche Bloggerin**, (www.dasbewegteleben.wordpress.com), schilderte die Herausforderungen bei der Einnahme von ca. 14 verschiedenen Medikamenten zu 9 verschiedenen Zeiten ihres 14-jähriges Kindes. Die Verabreichung erfolgt über: Inhalation, Mund, gastrale Magensonde, Dünndarmsonde, Blasenspülung. Zugrunde lagen dem Vortrag sowohl eigene Erfahrungen als auch Erfahrungen von weiteren Leona e.V.-Mitgliedern.

Mit ihrem Vortrag rückte sie die Veranstaltung in den Alltag von betroffenen Familien und erläuterte sehr anschaulich diverse Probleme bei der Medikamentengabe, für die sie auch gleich Lösungsvorschläge aufzeigte:

- > Allgemein gäbe es bei Medikamenten Schluckschwierigkeiten gerade bei Kindern mit Behinderungen, weswegen sie für mehr Saftformen, kleinere Tablettenformen und Medikamente in größerer Konzentration plädierte.
- > Die Medikamentengabe bei Sonden sei sehr kompliziert und teilweise kaum praktikabel in Notfallsituationen, ihre Vorbereitung dauere viel zu lange. Weiterhin plädierte sie für ehrliche Angaben in Bezug auf Sondengängigkeit. Oft werde diese behauptet, es gelinge dann aber nicht, diese Medikamente zu sondieren.



- > Kinder könnten Medikamente aufgrund der Farben und Konsistenz manchmal ablehnen. Weil die Gabe nichtschmeckender Medikamente viel Nerven und Zeit koste (z.B. durch Verstecken der Tablette im Apfel), wünschte sich Frau Hawranke Medikamente in verschiedenen Darreichungsformen und guten oder neutralen Geschmacksrichtungen.
- > Allergien und Diäten sollten auf dem Beipackzettel immer mitbedacht werden. Weiterhin wäre es wichtig, neben der Altersangabe auch eine Gewichtsangabe zu nennen, da Kinder mit komplexer Erkrankung teilweise vom Alter abweichende Körpermaße hätten.

> Lieferengpässe führten bei Eltern zu Stress, die Angst, dass ein krankes Kind mit seinem Medikament nicht versorgt werden könne, sei enorm. Daher müsse die Verfügbarkeitsicherheit von bestimmten Medikamenten sichergestellt werden, ggf. durch Anreize o.ä.

Ihre Wunschliste lautet:

- > Vereinfachung der Verschreibung bei Dauermedikamenten, weniger problematische Verordnung und Kostenübernahme von Zubereitungen oder spezifischen Medikamenten ohne bürokratische Hürden
- > Abbau der „Überweisungsbürokratie“, Wegfall der Notwendigkeit eines Überweisungsscheins zu Anfang des Quartals bei chronischer Erkrankung
- > Höhere Verfügbarkeitsicherheit

Irren ist menschlich, daher...

- > Dosierungsangaben führten selbst bei Expert:innen zu Fehlern, weil sie zu kompliziert beschrieben seien. Jedes Medikament, jede Verpackung, jede Packungsbeilage und jeder Aufdruck auf Medikamentenflaschen und -Blistern solle daher „barrierefrei“ werden!
- > eindeutige Kennzeichnung von Dosierung und Inhaltsstoffen (übersichtliche und eindeutige Gestaltung!)
- > Bessere Anleitung der Eltern durch Ärzt:innen

Bei Klinikaufenthalten bemängelte Hawranke, nicht alle speziellen Medikamente seien auf der Station vorrätig und würden einfach durch Medikamente anderer Firmen ersetzt, eine Anschlussversorgung für drei Tage sei deutlich zu knapp bemessen, und wünscht sich daher, dass Kliniken Spiegel-Medikamente von Herstellern vorrätig halten. Auch sollten die Medikamente für einen längeren Zeitraum mitgegeben werden.

Aufgrund der beschriebenen Probleme könne eine große Resignation bei pflegenden Eltern eintreten, weswegen das gemeinsame Ziel sein solle, alle Kinder adäquat mit Medikamenten zu versorgen.

Input zur Thematik aus der Fraktion DIE LINKE Kathrin Vogler, MdB (DIE LINKE)



Als Obfrau im Gesundheitsausschuss, zuständig u.a. für Patient:innenrechte sowie für Arzneimittel und Apotheken kritisierte Vogler, dass kranke Kinder „Waisenkinder der Medizin“ seien.

Diese kleine Zielgruppe rechne sich offenbar teils nicht für die Industrie, es sei ein ethisches „Motivationsproblem“, denn es gäbe für die Pharmaindustrie keinen großen finanziellen Anreiz, in dieser Gruppe zu forschen. Politische Reformen stießen an ihre Grenzen. Sie hätte sich von der PUMA-Zulassung mehr erwartet, kritisierte sie. Vogler plädierte für einen internationalen Forschungsfonds, um Geld für Studien bereitzustellen, da man es nicht allein der Privatwirtschaft überlassen dürfe, für kranke Kinder zu forschen.

Auf die Frage aus dem Plenum, was man tun könne, wenn Fortentwicklungen eines Erwachsenenmedikaments auf eine Kinderanwendung „unter den Tisch“ fielen, antwortete Vogler, dass es politisch dazu keine Regulatorien gäbe.

Hielte sich eine Firma nicht an vereinbarte Wiederbewertungsvorschriften, gäbe es keine Sanktionen. Das erleichtere es den Firmen, „sich einen schlanken Fuß“ zu machen, wenn sich das Medikament nicht rechne. Hier gäbe es Handlungsbedarf.

Hier wurde aus dem Publikum von Herrn Franken entgegnet, dass nur die europäische Ebene Erfolgsaussichten brächte.

Zum Vortrag von Frau Hawranke merkte Kathrin Vogler an, dass all diese Problemfelder für alle Patient:innen gelten würden. Sie setze sich beispielsweise schon jetzt für eine Vereinfachung der Verschreibung von Rezepten ein. Die Hinweise von Frau Hawranke seien für sie zum Teil neu, aber so plausibel, dass sie diese in ihre politische Arbeit mitaufnehmen wolle.

Kathrin Vogler ist Mitglied des Deutschen Bundestages, seit 2021 gesundheitspolitische Sprecherin der Fraktion DIE LINKE im Bundestag sowie stellvertretendes Mitglied im Ausschuss für Familie, Senioren, Frauen und Jugend.

Sicht eines pharmazeutischen Unternehmens auf die Problematik Dr. Andreas Franken, IKAM-Geschäftsführer#



Dr. Andreas Franken, Geschäftsführer der Initiative Arzneimittel für Kinder (IKAM), nahm auf der Veranstaltung gleich auf den Vortrag von Frau Hawranke Bezug und griff ihr Wunsch nach mehr Medikamenten in Form von Säften auf:

Eine Saftentwicklung koste beispielsweise 500 000 Euro. Seiner Meinung nach müssten Gesundheitssysteme die Finanzierungen der Forschungen anteilig zurückerstatten. Die Kostenminimierungsverfahren der Gesundheitssysteme seien dabei nicht vereinbar mit einer freiwilligen Forschung zur Deckung therapeutischer Lücken.

Am Beispiel des Medikaments Vigabatrin zeigte er auf, dass das Medikament in der frühen Nutzungsbewertung keinen angemessenen Preis erzielen konnte und daher nicht auf den Markt kommen konnte.



In-market prices (per tablet)	Kigabeg 100 mg	Kigabeg 500 mg	Sabril 500 mg sachet (reference drug)
France*	0,57 €	2,82 €	0,76 €
United Kingdom**	0,66 £	2,97 £	0,49 £
Germany***	0,064 €	0,32 €	0,93 €

* Price as agreed by the Comité Economique des Produits de Santé (CEPS) and published on February 4th 2020

** Price as agreed by the NHS- Department of Health and Social Care on February 6th, 2020

*** Price fixed after arbitration board meeting held on April 24th 2020

Klinische Prüfungen würden immer enger gefasst, daher wünsche er sich mehr politische Unterstützung und für Klinische Studien an Kindern auch mehr „Elternsupport“. Ein Saft für Säuglinge mit sehr, sehr kleinen Chargen müsse höhere Preise erzielen dürfen. Festbetragsregelungen seien gut, aber den Sonderstatus von Kinderarzneimitteln müsse die Politik besonders berücksichtigen.

Franken verwies außerdem auf die Arzneimitteldatenbank ZAK[®] der IKAM <https://www.zak-kinderarzneimittel.de>, die Informationen über Arzneimittel enthalte, die für mindestens eine der pädiatrischen Altersgruppen von Neugeborenen bis hin zu Jugendlichen zugelassen seien. So würden Therapeuten bei der Auswahl einer altersgerechten Darreichungsform unterstützt. Die Datenbank basiere auf den Fachinformationen der zugelassenen Medikamente.

In diesem Zusammenhang verwies Thomas Klingebiel vom Onkologisches Zentrum am Universitätsklinikum (UCT) auf die Datenbank kidsafe https://www.kinderformularium.de/sign_in/startseite, „Offlabel“ hieße ja nicht zwangsläufig „offexperienced“. Diese Datenbank würde eine evidenzbasierte Verordnungshilfe sein und gäbe Informationen zu Dosierungen, Darreichungsformen und Präparaten sowie pädiatrisch relevanten Neben- und Wechselwirkungen.

Birte Struntz

Birte Struntz knw & vfa Kathrin Vogler Karin Schmidt AKIK Bu... Andreas Franken - IKAM

 **Und natürlich**

Die Ängste und Ablehnung der Kinder



Ausreichend geschulte Ärzte und erfahrene Mitarbeiter mit Erfahrung in der klinischen Forschung und im Umgang mit Kindern.

Andreas Franken promovierte 1997 in organischer Chemie und Pharmakologie in Bonn. Seit 1997 arbeitet er im Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e.V. (BAH) in Bonn, seit 2004 als Abteilungsleiter Klinische Forschung und Projektleiter für elektronische Zulassungsverfahren. Er war bis Dezember 2010 Industrievertreter in der Kommission Arzneimittel für Kinder und Jugendliche beim BfArM und ist seit Juli 2014 Geschäftsführer der Initiative Arzneimittel für Kinder e.V. (IKAM). Er ist Vorsitzender der verbändeübergreifenden Arbeitsgruppe „Elektronische Zulassung“ zwischen Pharmaindustrie und Zulassungsbehörden, Leiter des DIN-Fachbereichs „Medizinische Informatik“ und Mitglied einer Vielzahl von EMA-Arbeitsgruppen zu Telematikprojekten wie xEVMPD, IDMP/SPOR, eCTD sowie Mitglied der ICH Expert Working Group zum eCTD und ESTRI.

Sicht der Selbsthilfe: Was muss sich ändern?

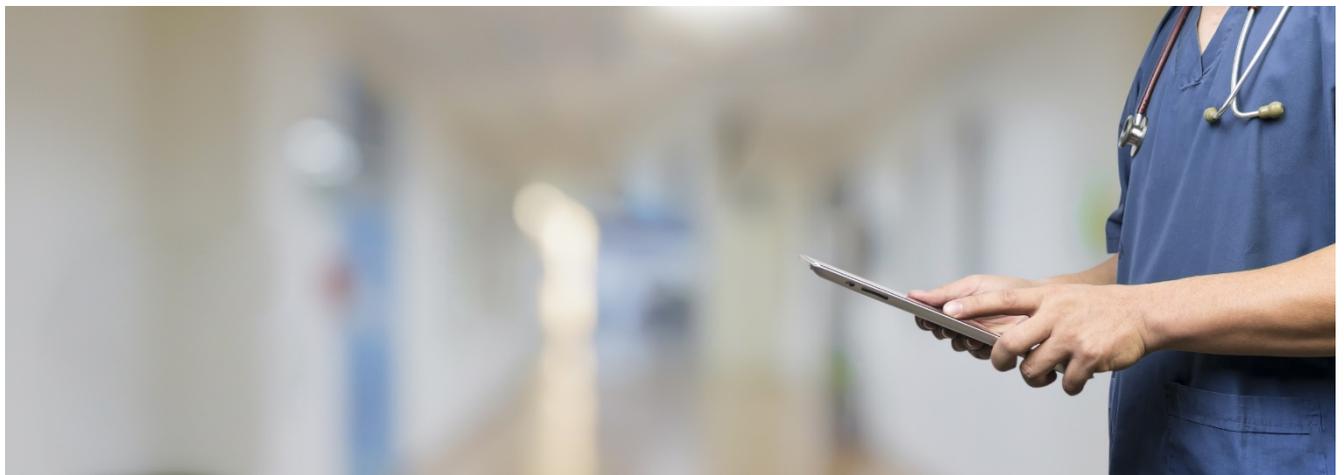
Dr. Annette Mund, Vorsitzende des Kindernetzwerk e.V.



Dr. Annette Mund, Vorsitzende des Kindernetzwerk e.V., schilderte am Ende der Veranstaltung, was sich aus Sicht der Selbsthilfe ändern sollte. Sie machte deutlich, dass klinische Studien mit und für Kinder und Jugendliche gelingen, wenn die Eltern keine Ängste bezüglich der Studienteilnahme ihrer Kinder hätten, wenn sie verstünden, wie die Studie ablaufen, an wen sie sich bei Fragen und Nöten wenden könnten und wenn alle Beteiligten, d.h. Eltern und Kinder, in alle Aspekte der Studie einbezogen würden.

Klinische Studien mit und für Kinder und Jugendliche können zudem gelingen, wenn Hilfe zur Selbsthilfe gegeben wird durch

- > Befähigung der Eltern
- > Durchbrechen der Schwarz-weiß-Welt der Krankenkassen
- > Dialog mit den herstellenden Unternehmen



Die Sicht der Eltern und Kinder:

„Ich glaube meine Ängste wären, dass es sich negativ auf den Zustand des Kindes auswirkt. Oder ich vielleicht die Zeit verliere mit Forschen und Experimenten und in dieser Zeit könnte mein Kind vielleicht mit bereits erforschten Medikamenten geheilt werden.“

Selbsthilfe kann hier unterstützen durch

- > Aufklärung über Studienverläufe
- > Ängste durch Aufklärung überwinden
- > Stärkung der Eltern-Power, sich in Studiendesigns einzumischen

Eltern benötigten Information über Off-Label-Use, sie müssten über den Verlauf einer Studie aufgeklärt werden, auch über die Rolle der Ethikkommissionen und die EU-Richtlinien [BfArM - Ethik-Kommissionen. https://www.bfarm.de/DE/Das-BfArM/Aufgaben/EU-und-Internationales/_node.html](https://www.bfarm.de/DE/Das-BfArM/Aufgaben/EU-und-Internationales/_node.html)

Die dazugehörigen Aufklärungsmaterialien müssten in laiengerechter Form aufbereitet werden und die Beteiligung der Betroffenen an allen Studienschritten (ab Design) erfolgen.

Seit 2017 wird das knw von Dr. Annette Mund als bundesweite Vorsitzende geführt. Damit steht zum ersten Mal seit seiner Gründung Ende 1992 eine Persönlichkeit aus der Eltern-Selbsthilfe dem knw vor. Als promovierte Philosophin hat sie einen erweiterten Blick auf betroffene Kinder und ihre Familien. Sie ist in der Pflege von jungen erwachsenen Menschen tätig.

Abschließende gemeinsame Diskussion

Forderungen an die Politik

Dr. Andreas Franken, Geschäftsführer Initiative Arzneimittel für Kinder (IKAM) fasste zu Beginn seines Vortrags die politische Problemlage aus Sicht eines Pharmaunternehmens zusammen. Hier dazu ein Bild aus seiner Präsentation:

- Der Bericht behauptet, dass die „ungeregelte Forschung“ bei Kinderarzneimitteln an den relevanten Bereichen vorbei geht.
- Die Idee der EU-Verordnung zu Kinderarzneimitteln, die Forschung nachträglich mit zu tragen (PUMA), läuft ins Leere.
- Haben Kinderarzneimittel nicht automatisch einen Zusatznutzen, wenn sie von der EMA und der EU-Kommission eine Zulassung erhalten haben?
- Statt einer eindeutigen, und somit auch nicht mehr zu diskutierenden, Festlegung durch die Kommission, welche Forschungsbereiche als „relevant“ angesehen werden, ist der Zulassungsinhaber in vielen Mitgliedstaaten gezwungen, in weitere Verhandlungen um einen Zusatznutzen seines Kinderarzneimittels einzutreten.
- *„Einer Änderung der Inhalte der Verordnung bedarf es hier nicht, stattdessen sollten die Mitgliedsstaaten von der EU-Kommission dazu aufgefordert werden, die Ansätze der Verordnung zu Kinderarzneimitteln mit zu tragen und sich an der Forschung für sichere Arzneimittel für Kinder zu beteiligen.“*

Dr. Annette Mund sei sicher, dass sich die Durchführung der klinischen Studien an Kindern ändern würde, wenn sich die Masse der betroffenen Elternschaft mobilisieren ließe und sich darüber eine „Schubkraft“ entwickelte.

Teilnehmer der Tagung Prof. Thomas Klingebiel stimmte ihrer Forderung zu: 80 Prozent der Kinder in der Medizinischen Klinik Hämatologie/Onkologie, Universitäres Centrum für Tumorerkrankungen Universitätsklinikum Frankfurt (UCT), hätten an klinischen Studien teilgenommen, weil sich die Eltern dafür eingesetzt hatten.

Karin Schmidt, Aktionskomitee Kind im Krankenhaus e.V. (AKIK), schlug als geeigneten Diskussionsraum die Kinderschutzkommission vor, da dort bereits alle relevanten Gruppen „an einem gemeinsamen Tisch“ saßen. Genug Handlungsbedarf besteht.



Deswegen hat Kathrin Jackel-Neusser, Geschäftsführerin des Kindernetzwerks nach der Online-Veranstaltung aktuelle Handlungsempfehlungen und Forderungen für die bestmögliche Versorgung von Kindern mit Arzneimitteln aus dem Kindernetzwerk e.V. und seinem zusammengetragen.

Wie versprochen wurden diese zu einem politischen Handlungskatalog zusammengefasst, der bei allen politischen Gesprächen mit Stakeholdern aus Politik und Gesundheit Diskussionsgrundlage ist.

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 insbesondere bei generischen Arzneimitteln besser als bislang gewährleistet werden, damit 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 weiter verstärkt 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 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>

Die Alltagserfahrungen der Familien und deren Feedback sollte bei den Angaben der Hersteller zur Dosierung und SONDENGÄNGIGKEIT der Arzneimittel stärkere Berücksichtigung finden: 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 klinischen 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 die notwendige Anzahl der Studienzentren mit entsprechender Ausstattung bis zur Aufklärung der Kinder und Jugendlichen sowie deren Eltern. Dabei müssen auch 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. Beispielsweise das Einfordern sehr großer Probandenzahlen wie bei klinischen Prüfungen bei Erwachsenen ist gerade für pädiatrische Prüfungen oft nicht erfüllbar. 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 eine allgemeine Aufklärungskampagne der BZgA zu Arzneimittelstudien für Kinder und Jugendliche die Teilnahmebereitschaft der betroffenen Familien erhöhen und zugleich eine ausreichende Finanzierung der an den Interessen dieser Altersgruppe orientierten Forschung sichergestellt werden.

Weitergehende Fragen? Nehmen Sie Kontakt auf

MdB Martina Stamm-Fibich
Platz der Republik 1
11011 Berlin
030/227-774 22
martina.stamm-fibich@bundestag.de

Kathrin Vogler, MdB DIE LINKE.
Deutscher Bundestag
Platz der Republik 1
11011 Berlin
Telefon: 030 - 227 72 112
Fax: 030 - 227 76 112
kathrin.vogler@bundestag.de

LEONA e.V.
Anne Hawranke
Häuerstr. 3
01968 Senftenberg
Tel.: 03573 / 36 39 04
hawranke@leona-ev.de

Dr. Andreas Franken
Geschäftsführer
Initiative Arzneimittel für Kinder e.V. (IKAM)
Initiative Medicines for Children
www.arzneimittel4kids.de
Ubierstr. 71-73
D-53173 Bonn
Phone: +49 228 95745-51
Fax: +49 228 95745-90
eMail: franken@arzneimittel4kids.de

Dr. Annette Mund
Vorsitzende von Kindernetzwerk e.V.
E-Mail: Schiffbauerdamm 19
10117 Berlin
Telefon 030-25765960
Telefax 06021-12446
mund@kindernetzwerk.de

Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V.
Hausvogteiplatz 13
10117 Berlin
Telefon: +49 30 20604-0
Fax: +49 30 20604-222
Email: info@vfa.de
Internet: www.vfa.de

Alles was Recht ist Impressum

Herausgeber
knw Kindernetzwerk e.V.
Dachverband der Selbsthilfe von Familien
mit Kindern und jungen Erwachsenen
mit chronischen Erkrankungen und Behinderungen

Kindernetzwerk e.V.
Am Glockenturm 6, 63814 Mainaschaff
Telefon 06021-454400, Telefax 06021-12446
Hauptstadtbüro:
Schiffbauerdamm 19, 10117 Berlin, Telefon 030-25765960
info@kindernetzwerk.de | www.kindernetzwerk.de
Geschäftsführerinnen:
Dr. med. Henriette Högl, Kathrin Jackel-Neusser

Redaktion/Gestaltung: Birte Struntz
Projektleitung: Kathrin Jackel-Neusser

Gestaltung: design | BÜROSTICH, Potsdam
Fotos: shutterstock, Adobe Stock, genehmigte Slides aus Präsentationen

Spendenkonto:
DE02 7955 0000 0000 9242 90, Sparkasse
Aschaffenburg BIC: BYLADEM1ASA

Es gelten aus schließlich die vertraglich vereinbarten Geschäfts- und Nutzungsbedingungen. Haftungshinweis: Trotz sorgfältiger inhaltlicher Kontrolle übernehmen wir keine Haftung für die Inhalte externer Links. Für den Inhalt der verlinkten Seiten sind ausschließlich deren Betreiber verantwortlich. Alle Texte und Fotos sind urheberrechtlich geschützt. © knw 2022

Kindernetzwerk e.V.
Stand
Juni 2022