



*Klinische Studien für
und mit Kindern und
Jugendlichen*
Informationen für
Eltern

Damit Sie den Überblick behalten

Das Inhaltsverzeichnis

- 3 **"Kinder haben ein Recht auf getestete Arznei"**
Zusammenfassender Veranstaltungsbericht

- 5 **Klinische Studien: Besonderheiten bei Kindern und Jugendlichen**
- aus regulatorischer Sicht
Dr. Sabine Scherer

- 9 **Studien mit Kindern - für Kinder: die Bedeutung pädiatrischer Netzwerke**
 - a) aus der Sicht der Wissenschaft
Prof. Dr. Albrecht Bufe
 - b) aus der Sicht von Studienzentren in der Praxis
Dr. Bernhard Sandner

- 18 **Berichte aus der Patienten-/Elternschaft zu Klinischen Studien**
Kindernetzwerk: Eine Kampagne für klinische Studien mit Kindern und Jugendlichen ist
längst überfällig
Raimund Schmid

- 21 **Erfahrungen von Patientenbeteiligung bei der Erstellung von Aufklärungsmaterialien
für Klinische Studien**
Wie ein erfolgreiches Miteinander funktionieren kann
Dr. Annette Mund
Dr. Jens Lipinski

- 25 **Klinische Studien - wo gibt es Informationen, wie wird man Teilnehmer in einer Studie?**
 - a) aus Sicht der ambulanten Pädiatrie
Dr. Rolf Ebert
 - b) aus Sicht der pharmazeutischen Industrie
Dr. Michael Kretschmann

"Kinder haben ein Recht auf getestete Arznei" Zusammenfassender Veranstaltungsbericht

Im Vergleich zu Erwachsenen sind Kinder bei Arzneimitteln benachteiligt. Für sie müssen eigene Studien aufgelegt werden. Das Kindernetzwerk, Eltern, Patientenvertreter und Fachleute tauschen sich auf Einladung des Verband Forschender Arzneimittelhersteller (vfa) zum vierten Mal dazu aus. Zentrale Fragen: Warum sind spezifische Studien mit Kindern notwendig? Welche Faktoren erschweren die Durchführung? Wo gibt es Anlaufstellen?

„Was können wir alle dazu beitragen, dass es zukünftig mehr und bessere Arzneimittel für Kinder gibt, damit sie optimal therapiert werden können?“ Mit dieser Kernfrage führt Barbara Haake vom vfa in das Thema ein.

Raimund Schmid, Geschäftsführer des Kindernetzwerkes kennt die Problematik bei vielen kranken Kindern und freut sich über die Kooperationsveranstaltung. „Sie nimmt die Wissenschaft, ärztliche Komponenten, die ethische Problematik, sowie den Blickwinkel Betroffener und der Selbsthilfe ein“.

Kinder haben ein Recht auf innovative Therapien

Dr. Sabine Scherer vom Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) erläutert, weshalb Studien mit Kindern und Jugendlichen notwendig sind: „Kinder sind keine kleinen Erwachsenen, da sich der kindliche Organismus in vielerlei Hinsicht von dem des Erwachsenen unterscheidet“, sagt sie und ergänzt: „Kinder haben das gleiche Recht auf innovative Therapien wie Erwachsene, die auf Sicherheit und Wirksamkeit getestet wurden.“ Manche Medikamente würden bei Minderjährigen anders anschlagen als bei Erwachsenen, wie etwa paradoxe Reaktionen auf Diazepam zeigten. „Entwicklungsspezifische Arzneimittelleffekte fallen nur auf, wenn sie in der betreffenden Altersgruppe – während des Wachstums oder in der Pubertät – untersucht werden“, erläutert sie. Die Kinderärztin weiß, dass Kinderkrankheiten andere Ursachen haben und anders verlaufen können als bei Erwachsenen. Ihr Fazit: Erwachsenenstudien sind nicht ohne Weiteres auf Kinder und Jugendliche übertragbar. Ein großes Problem bei Kinderstudien: die geringen Patientenzahlen sowie die Bedenken der Eltern. Die Aufklärung über Nutzen und Risiken von Studien mit unter 18jährigen sei absolut notwendig genauso wie eine frühe Zusammenarbeit.

Netzwerke fördern klinische Studien

Damit mehr Studien möglich werden, engagieren sich Ärzte. Einer von ihnen ist Prof. Albrecht Bufo vom Netzwerk Kinder- und Jugendärzte für klinische Studien in der ambulanten Pädiatrie (NETSTAP). Das NETSTAP betreut die Arztpraxen während der Studie. Für Bufo steht fest: „Wir können Kinder nur zur Teilnahme an klinischen Studien bewegen, wenn wir mit ihnen in einem geschützten Raum ein ganz offenes Gespräch führen können und auch wirklich hinter der Fragestellung stehen.“ Vertrauen in den Arzt und Transparenz sind Erfolgsfaktoren.

Dr. Bernhard Sandner (NETSTAP) ergänzt, dass Studien für und mit Kindern im Hinblick auf die Arzneimittelsicherheit unentbehrlich seien. Die Sicherheit für die Teilnahme eines Kindes sei wichtig. Will ein Prüfarzt eine Studie durchführen muss er klinische Erfahrung vorweisen und wird nach international verbindlichen Kriterien ausgebildet. Generell müssen sich laut Sandner alle an der Studie Beteiligten regelmäßig über eine sichere Dokumentation, Probleme bei der Rekrutierung oder auch über Stolpersteine austauschen.

„Weil ich etwas Gutes tue“

Der 16-jährige Johannes Hundte weiß, wovon die Ärzte reden. Er ist gerade acht Jahre alt als er die Diagnose Morbus Crohn erfährt. Seit 2015 ist er in eine Studie an der Uniklinik Gießen eingebunden. Er beteiligt sich gern daran, „weil ich etwas Gutes tue“, sagt er. Sein Alltag verlaufe problemlos: Alle vier Wochen geht er in die Klinik, achtet auf seine regelmäßige Tabletteneinnahme, besucht ganz normal die Schule und macht Sport. Johannes: „Am Anfang war es mir gar nicht so bewusst, in der Studie zu sein.“ Im Laufe der Zeit habe er sich an

das Fachchinesisch und sein neues Umfeld gewöhnt. „Die Krankenschwestern wurden meine neuen Freunde“, meint er.

„Möglichst wenig Schmerzen, Beschwerden, Angst“

Welche Aufgaben hat die Ethik-Kommission bei klinischen Studien mit Minderjährigen? Das weiß Prof. Joerg Hasford vom Arbeitskreis Medizinischer Ethikkommissionen. „Das Recht ist hier sehr speziell“, sagt er. Die Ethik-Kommission müsse unter anderem die wissenschaftliche Qualität der klinischen Prüfung, die rechtliche Zulässigkeit sowie die ethische und ärztliche Vertretbarkeit prüfen. Eine solche Studie dürfe nur durchgeführt werden, „wenn sie mit möglichst wenig Schmerzen, Beschwerden, Angst und allen anderen vorhersehbaren Risiken für die Prüfungsteilnehmer verbunden sei und sowohl die Risikoschwelle als auch das Ausmaß der Belastung im Prüfplan eigens definiert und ständig überprüft werden.“ Forschung dürfe nur mit einem „minimalen Risiko und einer minimalen Belastung“ verbunden sein. Der Teilnehmer muss die Informationen verstanden haben. Hasford: „Entsprechend ihrer Reife müssen Kinder ab zwei Jahren altersgerecht in den Zustimmungsprozess einbezogen werden“. Hier könnten Aufklärungsmaterialien wie Cartoons oder Videos hilfreich sein.

Zusammenarbeit geht weiter

„Ein Kinderbewusstsein ist ganz wichtig. Kinder sollten mit geprüftem Medikament behandelt werden, nicht Off-Label. Viele Eltern wissen gar nicht, was das ist“, weiß Dr. Annette Mund. Die Vorsitzende des Kindernetzwerkes appelliert: Es müsse ein breiter Diskurs in Deutschland eröffnet und die Frage gestellt werden, Was ist eigentlich kinderbewusst? „Wir brauchen eine Art Statement und einen Befund der Zeit.“ Mund wundert sich, warum das Thema Studien mit Kindern und Jugendlichen so schwer zu etablieren sei. Häufig sei der Tenor, dass Studien nur dann gemacht würden, wenn gar nichts anderes mehr ginge. „Und das ist etwas, wo wir entgegenwirken wollen“, sagt sie und ergänzt: „Wir denken, es wäre sehr gut, wenn wir auf diesem eingeschlagenen Weg weitergehen.“

Nur gemeinsam können gute Ergebnisse erreicht werden

Dr. Jens Lipinski von der Bayer Vital AG spricht von einem „extrem wertvollen Feedback“ mit vielen guten Vorschlägen seitens des Kindernetzwerkes und einer vertrauensvollen Zusammenarbeit. Er wünscht sich, dass sich das Kindernetzwerk zu einem neutralen Berater und „Themen-Treiber“ sowie „Feasability“-Experten im Sinne der Machbarkeit der Studien entwickelt. Lipinski erläutert die globale Perspektive: Studien werden international geplant und durchgeführt – die Berücksichtigung von nationalen Besonderheiten sei möglich, aber schwierig. Gute Umsetzung könne nur passieren, „wenn man es gemeinsam angeht“.

Wo finde ich geeignete Studien?

Kinderarzt Dr. Rolf Ebert erklärt, wo es Informationen zu klinischen Studien gibt. Teilnehmer sollten die Studie genau verstanden haben. Wichtig sei auch, die Termine genau auf die Familien abzustimmen. Die Unterzeichnung einer Einwilligung gehöre ebenfalls dazu. Darüber hinaus: etwas Mut, Zeit, Interesse, Vertrauen und Zuverlässigkeit. In jedem Fall sollten vorschnelle Entscheidungen oder unwahre Angaben vermieden werden. Um eine geeignete Studie zu finden, sei der behandelnde Arzt ein guter Ansprechpartner, aber auch zahlreiche Internetseiten helfen weiter (in entsprechendes Linkverzeichnis hierzu finden Sie ab Seite 24).

Quelle:

<https://www.vfa-patientenportal.de/aktuelles/veranstaltungsberichte/kinder-haben-ein-recht-auf-getestete-arznei>

Klinische Studien: Besonderheiten bei Kindern und Jugendlichen - aus regulatorischer Sicht

Weshalb sind Studien mit Kindern und Jugendlichen notwendig?

"Kinder sind keine kleinen Erwachsenen"- dieser Satz wird im Zusammenhang mit klinischen Studien mit Kindern und Jugendlichen häufig zitiert und tatsächlich unterscheidet sich der kindliche Organismus in vielfältiger Weise vom dem Erwachsener. Diese Unterschiede sind häufig altersspezifisch. So ändert sich die Aktivität vieler Eiweiße, die am Abbau von Medikamenten beteiligt sind (Enzyme) mit dem Lebensalter. Bei Neugeborenen und jungen Säuglingen ist diese Aktivität häufig gering, im Kleinkindesalter kann sie über derer Erwachsener liegen. Es liegt auf der Hand, dass dies bei der Wahl der Medikamentendosis berücksichtigt werden muss.

Würde man einem jungen Säugling zum Beispiel die gleiche Dosis wie einem Erwachsenen verabreichen, so könnte dies, aufgrund des langsameren Abbaus der Substanz dazu führen, dass sich zu viel des Stoffes im Körper ansammelt, was ein erhöhtes Risiko für unerwünschte Wirkungen (Nebenwirkungen) mit sich bringt. Im umgekehrten Fall könnte bei einem vermehrten Abbau die Menge der Substanz im Körper nicht ausreichend sein, um die gewünschte Wirkung zu erzielen. Heutzutage gibt es Methoden, die Dosis anhand von Modellen zu berechnen, allerdings sollte auch hier eine Bestätigung anhand von klinischen Daten erfolgen.

Darüber hinaus reagieren Kinder manchmal anders auf Medikamente als Erwachsene das tun. Das Medikament Diazepam, welches bei Erwachsenen beruhigend wirkt, hat auf Kinder manchmal eine aktivierende Wirkung (sogenannte paradoxe Reaktion). Manche Erkrankungen, zum Beispiel das Atemnotsyndrom der Frühgeborenen, welches auf einem Mangel an einer Substanz (Surfactant) beruht, die für die Entfaltung der Lunge wichtig ist, kommt im Erwachsenenalter nicht vor und kann deshalb auch nicht an Erwachsenen studiert werden. Manche Erkrankungen, z.B. Tumorerkrankungen verlaufen bei Kindern anders als bei Erwachsenen oder sie haben andere Ursachen und müssen deshalb anders behandelt werden. Entwicklungs-spezifische Arzneimittelwirkungen, fallen nur auf, wenn sie auch in der entsprechenden Altersgruppe studiert werden. Hier sind zum Beispiel Effekte auf die Pubertätsentwicklung oder auch das Knochenwachstum zu nennen. Sollte ein Arzneimittel sich negativ auf das Knochenwachstum auswirken, würde man das in Erwachsenenstudien nicht erkennen können. Zusammenfassend kann man sagen, dass einerseits Daten aus Studien an Erwachsenen nicht notwendigerweise auf Kinder oder Jugendliche übertragbar sind, andererseits haben Kinder und Jugendliche aber das gleiche Recht auf neue innovative Therapien, die auf Sicherheit und Wirksamkeit getestet wurden wie Erwachsene auch.

Wie werden Kinder und Jugendlichen in klinischen Studien besonders geschützt?

Im deutschen Arzneimittelgesetz (AMG) sind in den Paragraphen 40 und 41 Vorgaben für die klinische Prüfung aufgeführt. Paragraph 40 befasst sich hier mit den allgemeinen Voraussetzungen und Paragraph 41 mit besonderen Voraussetzungen für klinische Prüfungen bei Personen, die an einer Krankheit leiden. Für Minderjährige wird unter anderem Folgendes festgelegt:

AMG, § 40 (4):

- > Das Arzneimittel muss zum Erkennen oder zum Verhüten von Krankheiten bei Minderjährigen bestimmt und die Anwendung des Arzneimittels nach den Erkenntnissen der medizinischen Wissenschaft angezeigt sein, um bei dem Minderjährigen Krankheiten zu erkennen oder ihn vor Krankheiten zu schützen. Angezeigt ist das Arzneimittel, wenn seine Anwendung bei dem Minderjährigen medizinisch indiziert ist.

- > Die klinische Prüfung an Erwachsenen oder andere Forschungsmethoden dürfen nach den Erkenntnissen der medizinischen Wissenschaft keine ausreichenden Prüfergebnisse erwarten lassen.
- > Die Einwilligung wird durch den gesetzlichen Vertreter abgegeben,... . Sie muss dem mutmaßlichen Willen des Minderjährigen entsprechen, soweit ein solcher feststellbar ist. Der Minderjährige ist vor Beginn der klinischen Prüfung von einem im Umgang mit Minderjährigen erfahrenen Prüfer,... über die Prüfung, die Risiken und den Nutzen aufzuklären, soweit dies im Hinblick auf sein Alter und seine geistige Reife möglich ist; erklärt der Minderjährige, nicht an der klinischen Prüfung teilnehmen zu wollen,... so ist dies zu beachten. Ist der Minderjährige in der Lage, Wesen, Bedeutung und Tragweite der klinischen Prüfung zu erkennen und seinen Willen hiernach auszurichten, so ist auch seine Einwilligung erforderlich. Eine Gelegenheit zu einem Beratungsgespräch... ist neben dem gesetzlichen Vertreter auch dem Minderjährigen zu eröffnen.
- > Die klinische Prüfung darf nur durchgeführt werden, wenn sie für die betroffene Person mit möglichst wenig Belastungen und anderen vorhersehbaren Risiken verbunden ist; sowohl der Belastungsgrad als auch die Risikoschwelle müssen im Prüfplan eigens definiert und vom Prüfer ständig überprüft werden.
- > Vorteile mit Ausnahme einer angemessenen Entschädigung dürfen nicht gewährt werden.

§41 legt zusätzlich fest:

- > Die Anwendung des zu prüfenden Arzneimittels muss nach den Erkenntnissen der medizinischen Wissenschaft angezeigt sein, um das Leben der betroffenen Person zu retten, ihre Gesundheit wiederherzustellen oder ihr Leiden zu erleichtern, oder
- > die klinische Prüfung muss für die Gruppe der Patienten, die an der gleichen Krankheit leiden wie die betroffene Person, mit einem direkten Nutzen verbunden sein,
- > die Forschung muss für die Bestätigung von Daten, die bei klinischen Prüfungen an anderen Personen oder mittels anderer Forschungsmethoden gewonnen wurden, unbedingt erforderlich sein,
- > die Forschung muss sich auf einen klinischen Zustand beziehen, unter dem der betroffene Minderjährige leidet und
- > die Forschung darf für die betroffene Person nur mit einem minimalen Risiko und einer minimalen Belastung verbunden sein; die Forschung weist nur ein minimales Risiko auf, wenn nach Art und Umfang der Intervention zu erwarten ist, dass sie allenfalls zu einer sehr geringfügigen und vorübergehenden Beeinträchtigung der Gesundheit der betroffenen Person führen wird; sie weist eine minimale Belastung auf, wenn zu erwarten ist, dass die Unannehmlichkeiten für die betroffene Person allenfalls vorübergehend auftreten und sehr geringfügig sein werden.

Kinder und Jugendliche werden hier also vom Gesetz besonders geschützt. Studien mit Kindern und Jugendlichen dürfen nur durchgeführt werden, wenn sie unbedingt nötig sind und die Belastung soll für die Kinder so gering wie möglich gehalten werden. Die Kinder und Jugendlichen haben ein Recht auf Aufklärung und ein Mitspracherecht. Auch andere Verordnungen wie die Verordnung über Kinderarzneimittel (Verordnung (EG) Nr. 1901/2006), die im Prinzip festlegt, dass Arzneimittel auch für Kinder und Jugendliche entwickelt werden müssen, sofern dies für diese Bevölkerungsgruppe sinnvoll ist, zielen in diese Richtung. So wird zum Beispiel auch hier ausgeführt, dass Kinderstudien zurückgestellt werden können, falls Daten, die in Studien an Erwachsenen generiert werden, die Sicherheit für die kindlichen oder jugendlichen Studienteilnehmer in Kinderstudien verbessern können. Auch durch eine geeignete Wahl des Studiendesigns kann die Belastung der Kinder und Jugendlichen gesenkt werden. Im Rahmen von Arzneimittelentwicklungsprogrammen werden in der Regel sogenannte pharmakokinetische Studien durchgeführt, bei denen die Menge des Arzneimittels im Blut im Zeit-

verlauf gemessen wird. Bei Erwachsenen werden hier meist wenige Studienteilnehmer eingeschlossen, denen dann relativ häufig Blut entnommen wird. Da Blutentnahmen für Kinder belastend sind, führt man bei Kindern sogenannte populationskinetische Untersuchungen durch. Hier wird bei einer größeren Zahl von Kindern an nur wenigen Zeitpunkten Blut entnommen, was die Belastung für den einzelnen Patienten senkt. Anhand der Werte wird dann ein populationskinetisches Model entwickelt und bestätigt, welches den Verlauf der Blutspiegel charakterisiert.

Warum sind Kinderstudien schwieriger durchzuführen als Erwachsenenstudien?

Kinder leiden glücklicherweise seltener als Erwachsene an, vor allem, chronischen Erkrankungen. Dies führt dazu, dass weniger kindliche Patienten für klinische Studien zur Verfügung stehen. Dadurch ist die Rekrutierung in diese Studien erschwert und es müssen in vielen Fällen deutlich mehr Studienzentren eröffnet werden, als dies bei Erwachsenenstudien der Fall ist. Häufig wird die Zahl der möglichen Studienteilnehmer weiter dadurch reduziert, dass die Sorgeberechtigten Bedenken haben, ihre Kinder in eine klinische Studie einzuschließen. In diesem Zusammenhang fällt häufig der Begriff „Versuchskaninchen“. Hier sind weitere Aufklärungsmaßnahmen notwendig, die zum Beispiel, die in klinischen Studien zur Verfügung stehenden Überwachungsmaßnahmen erläutern, die deutlich über den Möglichkeiten der Überwachung beim Einsatz eines Arzneimittels außerhalb der Zulassung (off-label-use) liegen.

Kinderstudien sind häufig deutlich aufwendiger durchzuführen, da der personelle, organisatorische und zeitliche Aufwand zum Beispiel für Untersuchungen und Blutentnahmen deutlich über dem bei erwachsenen Patienten liegt. In vielen Fällen fehlen bei Kindern gut untersuchte (validierte) Endpunkte, oder Endpunkte, die in Erwachsenenstudien problemlos erhoben werden können, sind für Kinder nicht geeignet. So sind zum Beispiel einige Lungenfunktionsuntersuchungen oder auch der 6-Minuten-Gehtest bei jüngeren Kindern nur schwierig oder gar nicht durchzuführen. Die Datenlage zu den Gründen (Pathophysiologie) und dem genauen Verlauf vieler Krankheiten ist bei Kindern und Jugendlichen häufig nur ungenügend untersucht, was die Planung und auch die Beurteilung von klinischen Studien in diesem Lebensalter erschwert. Viele pädiatrische Prüfkonzepte (PIPs), die beim Pädiatrischen Komitee der Europäischen Arzneimittelagentur eingereicht werden und die Entwicklung eines Medikamentes im Kindes- und Jugendalter beschreiben, sind hauptsächlich auf den Bedarf bei Erwachsenen und nicht bei Kindern ausgerichtet. So gibt es relativ viele Programme, die die Behandlung des Diabetes mellitus Typ 2 (Zuckerkrankheit) zum Ziel haben. Diese Erkrankung ist bei Erwachsenen sehr häufig, spielt aber im Kindesalter eine viel geringere Rolle. Dies führt dazu, dass die verschiedenen Programme um eine recht geringe Anzahl von Patienten konkurrieren, was den Abschluss des einzelnen Programms verzögern kann.

Wie kann die Situation im Bereich Kinderarzneimittel weiter verbessert werden?

Sehr wichtig ist es, alle Bevölkerungsgruppen weiter über die Notwendigkeit, den Nutzen aber auch die Risiken von klinischen Studien aufzuklären, um dem Einzelnen eine informierte Entscheidung über die Teilnahme an einer klinischen Studie zu ermöglichen. Darüber hinaus kann eine frühe Zusammenarbeit aller an diesen Studien beteiligten Gruppen (z.B. Regulatoren weltweit, Sponsoren, Investigatoren/Experten/Netzwerke, Patienten) helfen, Studien zu entwickeln, die sowohl für die Teilnehmer als auch für die Durchführenden und die regulatorischen Stellen, die diese Studien im Anschluss bewerten und das Arzneimittel gegebenenfalls zulassen, akzeptabel sind. Die frühe Beteiligung gerade der Patientengruppe ist hier sehr wichtig, da diese ja an den Studien teilnehmen sollen. Nur wenn sie einen Sinn in der jeweiligen Studie sehen und die damit einhergehenden Belastungen für sie akzeptabel sind, hat das Programm Aussicht auf Erfolg. Eine bessere Identifikation des tatsächlichen Therapiebedarfs von Kindern und Jugendlichen kann helfen, die Arzneimittelentwicklung in die Richtung zu dirigieren, wo der größte Bedarf besteht. In diesem Zusammenhang ist auch der Aktionsplan der Europäischen Kommission und der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) zu sehen, der im Nachgang zum

10 Jahresbericht der Europäischen Kommission zur Kinderarzneimittelverordnung erstellt wurde. Dieser adressiert im Wesentlichen fünf Punkte. Der erste Punkt befasst sich mit der Identifikation des pädiatrischen Bedarfs und umfasst zum Beispiel eine Umfrage zu Kriterien, die helfen könnten, diesen Bedarf zu ermitteln. Darüber hinaus ist eine verstärkte Kooperation verschiedener Entscheidungsträger zum Beispiel zwischen der europäischen und der US-amerikanischen Zulassungsbehörde geplant. Außerdem soll der zeitgerechte Abschluss der pädiatrischen Prüfkonzepte (PIP) sichergestellt werden. Hierzu soll es eine Empfehlung zur Durchführung von Kinderstudien geben. Es ist auch ein verstärkter Dialog zwischen dem pädiatrischen Komitee und pädiatrischen Patienten geplant. Der administrative Umgang mit den PIP-Anträgen soll zum Beispiel durch eine vermehrte Kommunikation zwischen dem pädiatrischen Komitee und den Antragstellern verbessert werden. Zusätzlich wird eine vermehrte Transparenz im Bereich der Kinderarzneimittel zum Beispiel durch eine Aktualisierung des Arzneimittelgemeinschaftsregister (Community register of medicinal products) im Bereich der Kinderarzneimittel angestrebt. Der komplette Aktionsplan findet sich unter:

https://ec.europa.eu/health/human-use/paediatric-medicines_de.

Es bleibt zu hoffen, dass alle diese Maßnahmen greifen und dazu beitragen, dass neue innovative Arzneimittel auch für Kinder und Jugendliche zeitgerecht und gut auf Wirksamkeit und Sicherheit geprüft, zugelassen und auf den Markt gebracht werden können.

Interessenkonflikt

Die Autorin gibt an, dass kein Interessenkonflikt besteht. Die hier darstellten Positionen entsprechen denen der Autorin und nicht notwendigerweise denen des BfArMs oder des EMA/PDCOs.

Dr. med. Sabine Scherer
Fachärztin für Kinderheilkunde und Jugendmedizin/Pediatrician
Stabstelle EU / European and international affairs
Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte

Literatur

Gesetz über den Verkehr mit Arzneimitteln (Arzneimittelgesetz - AMG)

Verordnung (EG) Nr. 1901/2006 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 12. Dezember 2006 über Kinderarzneimittel und zur Änderung der Verordnung (EWG) Nr. 1768/92, der Richtlinien 2001/20/EG und 2001/83/EG sowie der Verordnung (EG) Nr. 726/2004

State of Paediatric Medicines in the EU-10 years of the EU Paediatric Regulation,
<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/paediatric-medicines/paediatric-regulation>

EMA 10 year Report to the European Commission, <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/paediatric-medicines/paediatric-regulation>

European Medicines Agency and European Commission (DG Health and Food Safety) action plan on paediatrics, https://ec.europa.eu/health/human-use/paediatric-medicines_de

Community Register of Medicinal Products, http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/index_en.htm

Studien mit Kindern - für Kinder: die Bedeutung pädiatrischer Netzwerke - aus Sicht der Wissenschaft

Der Arzt als Prüfarzt

Soll die Krankheit eines Kindes diagnostiziert und therapiert werden, wird über das Vorgehen und die Maßnahmen in der Beziehung zwischen dem Arzt/der Ärztin und den Kindern und Eltern entschieden. Dabei verschreibt der Arzt normaler Weise zugelassene Pharmaka oder s.g. *named patient* Präparate, d.h. individuell hergestellte Mischungen. Sind die Medikamente nicht zugelassen, kann der Arzt entweder einen Heilversuch durchführen oder dies üblicher Weise nur im Rahmen einer klinischen Studie veranlassen. Kommt beides nicht in Frage, bewegt sich der Arzt im „off label“-Bereich. Das bedeutet, dass ein Kind mit einem Präparat behandelt wird, welches für seine Altersgruppe oder die zu behandelnde Krankheit nicht zugelassen ist. Im Falle des Heilversuches und der klinischen Studie wandelt sich der Arzt in einen Prüfarzt.

Beziehung Arzt - Patient

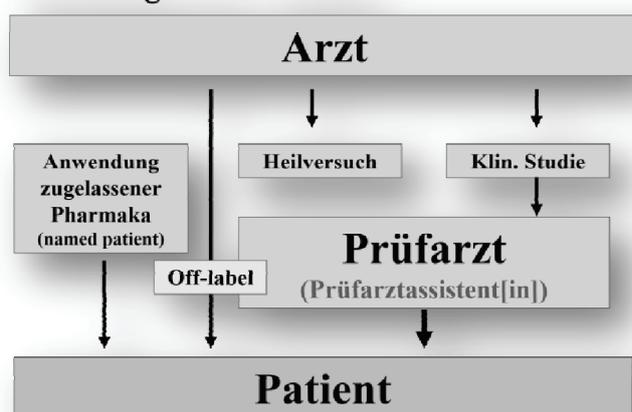


Abbildung 1
Beziehung Arzt - Patient.

Die gute Klinische Praxis (GCP)

Grundsätzlich gelten unter diesen Bedingungen strenge ethische und regulatorische Voraussetzungen, die weit über die normale Arzt - Patienten Beziehung hinausgehen. Insbesondere die Gewinnung von Kindern für klinische Studien kann eine heikle Angelegenheit werden, wenn der Arzt keine entsprechende Ausbildung für die Anwendung der guten klinischen Praxis (GCP) hat. GCP dient über die normale Arzt-Patienten Beziehung hinaus einerseits dem Schutz der Probanden und andererseits der Schaffung glaubhafter und verlässlicher Studiendaten. Da seit 2004 die ethischen und regulatorischen Voraussetzungen für die Durchführung von klinischen Studien in Europa an Auflagen und Umfang erheblich zugenommen haben, stellt die Durchführung von klinischen Studien in der ambulanten Pädiatrie eine besondere Herausforderung dar. Sie setzt nicht nur voraus, dass der Prüfarzt und sein Prüfpersonal (Prüfteam) eine besondere Ausbildung in GCP erhalten hat. Zusätzlich muss eine Praxis in der klinische Studien durchgeführt werden dafür eingerichtet sein und hohe Ansprüche an regulatorische und praktische Studienbedingungen erfüllen.

Pädiatrische Netzwerke für klinische Studien

Für die unterschiedlichen Krankheiten in der Pädiatrie wie Krebskrankheiten, Lungenkrankheiten, seltene Erkrankungen, die Bildung von Geburtskohorten oder bei Atemwegserkrankungen, Infektionskrankheiten, Impfungen etc. haben sich in den letzten Jahrzehnten verschiedene pädiatrische Netzwerke herausgebildet. Diese sind neben zahlreichen anderen Aktivitäten in der Lage, klinische Studien auf hohem Niveau zu initiieren und durchzuführen. Als Beispiel sei die Gesellschaft für pädiatrische Onkologie und Hämatologie (GPOH, www.gpoh.de) genannt, die seit Jahrzehnten sämtliche Kinder mit Krebskrankheiten in der Bundesrepublik unter Studienbedingungen behandelt. Ein weiteres Beispiel stellt der Verein Mukoviszidose e.V. dar (www.muko.info), der ebenfalls seit vielen Jahren nicht nur als Selbsthilfegruppe sondern auch als Gruppe von spezialisierten Ärzten für Forschungsprogramme und Therapieleitlinien arbeitet. Ein anderes Beispiel ist das Netzwerk Multizentrische Allergiestudie (MAS), das sich vor Jahren als Gruppierung, bestehend aus verschiedenen universitären Allergieambulanzen, in der BRD gebildet hat und sehr erfolgreich und unter strengen ethischen Bedingungen die Entwicklung von allergischen Erkrankungen vom Kindes- zum Erwachsenenalter untersucht hat.

Netzwerk Kinder- und Jugendärzte für klinische Studien in der Ambulanten Pädiatrie - NETSTAP

Bei den niedergelassenen Kinder- und Jugendärzten herrschte lange wenig Erfahrung im Umgang mit klinischer Forschung. Deshalb hat sich vor über 18 Jahren in Deutschland ein Netzwerk für Kinder- und Jugendärzte, kurz NETSTAP, herausgebildet. Dieses Netzwerk hat sich zur Aufgabe gemacht, aus der ambulanten Pädiatrie selbst heraus Prüfärzte und Studynurses mit GCP Kursen fortzubilden, sich informativ zu vernetzen und klinische Studien die von der Pharmaindustrie angeboten werden an die Kolleginnen und Kollegen zu vermitteln. Im Vorstand des Vereines sitzen mit einer Ausnahme nur niedergelassene Kolleginnen und Kollegen. NETSTAP (www.netstap.de) hat über die letzten 18 Jahre sehr viel Erfahrung mit professionellen klinischen Studien gesammelt.

Studien in der ambulanten Pädiatrie - Allergiestudie

Als Beispiel für die Aktivitäten von NETSTAP sei eine Zulassungsstudie für die Wirksamkeit einer Sublingual

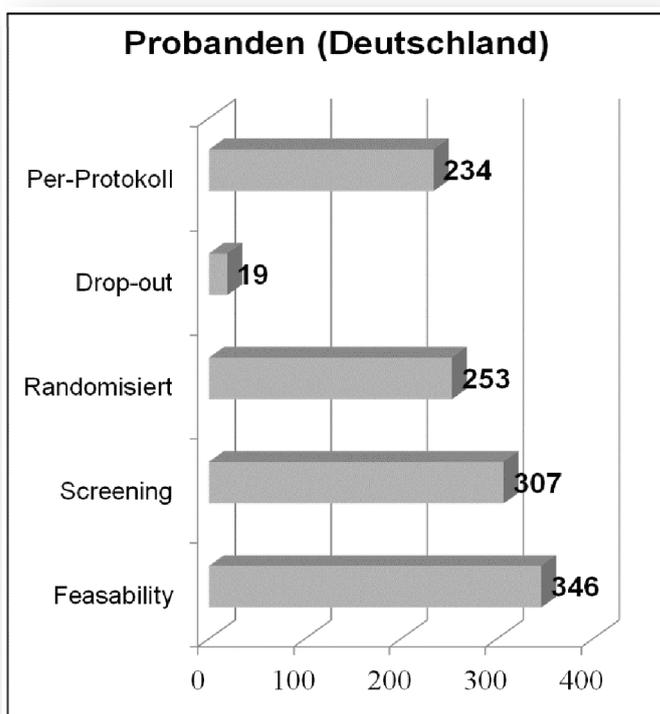


Abbildung 2
Auswertung einer Zulassungsstudie.

anzuwendenden Allergentablette bei Kindern im Alter zwischen 5 und 12 Jahren genannt. Für diese Phase 3 Studie sollten 240 Kinder eingeschlossen werden und es sollte die klinische Wirksamkeit und Verträglichkeit eben dieser Allergentablette nachgewiesen werden. NETSTAP führt unter solchen Bedingungen zunächst eine Machbarkeitsbefragung durch, bei der in diesem Fall die Kolleginnen und Kollegen aus dem Netzwerk 346 Kinder hätten einbringen können. 307 Kinder wurden in den Praxis für den Einschluss in die Studie gescreent, 253 Kinder letztlich randomisiert. Am Ende waren 19 Kinder aus der Studie wieder aus verschiedensten Gründen ausgeschieden (drop out). Die Untersuchungsergebnisse von 234 Kinder konnten schließlich ausgewertet werden. Die Ergebnisse dieser Studie wurden 2009 in einer anerkannten wissenschaftlichen veröffentlicht (Bufe et al. 2009). Autoren waren hauptsächlich die teilnehmenden Prüferärztinnen und -ärzte.

Säuglingsstudie

Vergleicht man die eben beschriebene Studie mit einer Studie, für die gesunde neugeborene Kinder rekrutiert werden sollten fällt auf, dass die Kinderärzte deutlich weniger Kinder für primär einschließbar hielten. Letztlich gelang es bei dieser Studie mit hohem Screeningaufwand (1276 Kinder wurden angefragt), schließlich 228 junge Säuglinge für die Studie gewinnen zu können. 87 fielen allerdings wegen nicht Erfüllung der Studienkriterien wieder heraus. Schließlich konnten 141 Kinder ausgewertet werden. Zu diesen 141 Kindern haben insgesamt 16 niedergelassene Pädiaterinnen und Pädiater (Zentren) beigetragen (Abrahamse-Berkeveld et al. 2016).

Impfstudie

Einfacher für den niedergelassenen Kinderarzt sind Impfstudien zu neuen Impfstoffen durchzuführen. So haben 22 NETSTAP Zentren an der Entwicklung eines Impfstoffes gegen Meningokokkenerkrankung teilgenommen, mitgeteilt, dass sie 541 Kinder einschließen könnten, letztlich 320 gescreent und 307 randomisiert. Die drop out Rate war sehr gering, so dass 291 Kinder die Studie erfolgreich beendet haben. Auch hier wurden diese wissenschaftlichen Ergebnisse für die Öffentlichkeit in einem hochrangigen amerikanischen Journal veröffentlicht (Gosger et al. 2012).

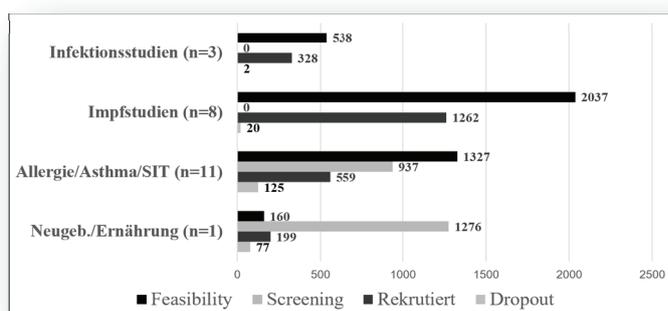


Abbildung 3
Auswertung einer Impfstudie.

Qualität eines ambulanten Netzwerks

Zusammengefasst kann man feststellen, dass man ein gut organisiertes pädiatrisches Netzwerk braucht, um Studien unterschiedlicher Fragestellung in der niedergelassenen Praxis erfolgreich durchführen zu können und dabei selbstverständlich die ethischen und regulatorischen Bedingungen zu erfüllen. NETSTAP hat in den letzten 17 Jahren insgesamt 23 klinische Studien durchgeführt an denen zusammengenommen 249 Zentren aus unserem Netzwerk teilgenommen haben.

Vergleicht man Machbarkeitsangaben mit der Anzahl an Kindern die gescreent werden müssen, solchen die schließlich eingeschlossen wurden und jenen die vorzeitig ausgeschieden sind, stellt man fest, dass sich die Bedingungen in der Praxis in Impfstudien, in Studien aus dem Bereich Allergie und Asthma sowie in Infektionsstudien deutlich unterschiedlich darstellen.

Will man also wissenschaftlich verlässliche Studien unter strengen ethischen Bedingungen in der niedergelassenen Kinder- und Jugendarztpraxis durchführen, bedarf es eines organisatorisch, qualitativ und kommunikativ gut aufgestellten Netzwerks der Beteiligten. Eine der besonderen Stärken der pädiatrischen Netzwerke ist die Authentizität der Gruppen, weil die Organisatoren der Netzwerke fast vollständig aus der pädiatrischen Praxis selber kommen.

Literaturverzeichnis

Abrahamse-Berkeveld, M.; Alles, M.; Franke-Beckmann, E.; Helm, K.; Knecht, R.; Koellges, R. et al. (2016): Infant formula containing galacto-and fructo-oligosaccharides and Bifidobacterium breve M-16V supports adequate growth and tolerance in healthy infants in a randomised, controlled, double-blind, prospective, multi-centre study. In: JOURNAL OF NUTRITIONAL SCIENCE 5. DOI: 10.1017/jns.2016.35.

Bufe, A.; Eberle, P.; Franke-Beckmann, E.; Funck, J.; Kimmig, M.; Klimek, L. et al. (2009): Safety and efficacy in children of an SQ-standardized grass allergen tablet for sublingual immunotherapy. In: J Allergy Clin Immunol 123 (1), S. 167-173.

Gossger, Nicoletta; Snape, Matthew D.; Yu, Ly-Mee; Finn, Adam; Bona, Gianni; Esposito, Susanna et al. (2012): Immunogenicity and tolerability of recombinant serogroup B meningococcal vaccine administered with or without routine infant vaccinations according to different immunization schedules. A randomized controlled trial. In: JAMA 307 (6), S. 573-582. DOI: 10.1001/jama.2012.85.

Prof. Dr. med. Albrecht Bufe
Kinder- / Jugendarzt und Allergologe
Leiter der Abteilung Experimentelle Pneumologie
Ruhr-Universität Bochum
Vorsitzender von NETSTAP

Studien mit Kindern - für Kinder: die Bedeutung pädiatrischer Netzwerke - aus der Sicht von Studienzentren in der Praxis

Die Praxis eines Kinder- und Jugendarztes ist nicht von vorneherein gleichzusetzen mit einem Studienzentrum. Grundsätzlich jedoch sollte jede Praxis im Alltag für eine Heilbehandlung gemäß Leitlinien und wissenschaftlichen Erkenntnissen bzw. Standards stehen und dabei stets die Sicherheit in der Behandlung mit Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen im Blick haben. Hierfür bedarf es einer Vielzahl valider Daten, so dass Studien mit Kindern –und damit für Kinder- mehr denn je unentbehrlich geworden sind. Sicherheit ist ebenso –und im besonderen Maße- gefordert für die Teilnahme eines Kindes an einer wissenschaftlichen Studie. Dafür gibt es klare und international verbindliche Kriterien, die der „Guten Klinischen Praxis“ (Good Clinical Practice=GCP) folgen müssen und für jeden Prüfarzt bzw. für jedes Studienzentrum unumstößlich sind.

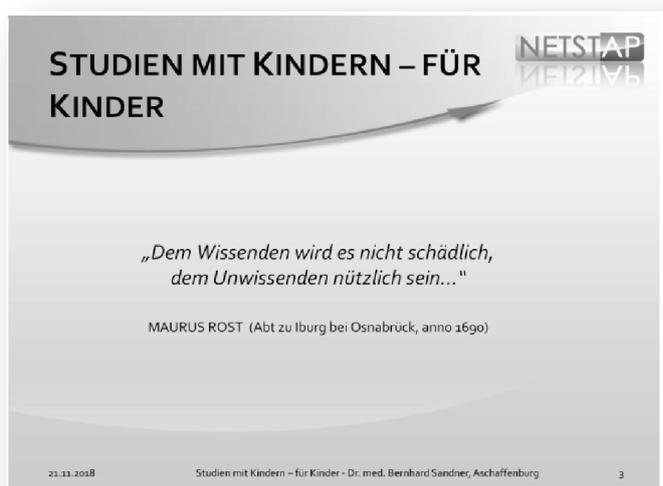


Abbildung 1

Praxis mutiert zum Studienzentrum

Neben –in der Regel langjähriger- klinischer Erfahrung ist Voraussetzung für die Anerkennung als Prüfarzt oder Prüfartzassistent („StudyNurse“) die Ausbildung nach internationalen Kriterien der „Guten Klinischen Praxis“ (GCP). Dieses wird erreicht nach Absolvierung von GCP-Grundkursen sowie –Aufbaukursen, ferner durch regelmäßige Wissensauffrischung im Rahmen von „GCP-Refreshings“, die speziell dann gefragt sind, wenn gesetzliche wie regulatorische Neuerungen zu beachten sind. Sämtliche dieser Schulungen gehören zum Repertoire des im vorherigen Referats bereits vorgestellten Netzwerkes von Kinder- und Jugendärzten für klinische Studien in der Ambulanten Pädiatrie (www.netstap.de).

Da gerade in den letzten Jahren die Regularien und administrativen Aufgaben im Kontext klinischer Studien stetig zugenommen haben, resultieren deutlich erhöhte Anforderungen für das Studienzentrum Praxis. Ein Beispiel dafür ist die unterschriftsfähige Aufklärung für Kinder unterschiedlicher Altersgruppen, was letztlich wiederum der Patienten-Sicherheit dient und besonders die individuelle Patienten-Zentrierung betont. Die Fülle notwendiger, geordneter Einzelheiten kann nur im Team eines Studienzentrums bewältigt werden, so dass mit dem folgenden Schaubild die tragende Rolle der Arzthelferin (StudyNurse) im Verlauf einer klinischen Studie herauszustellen ist.

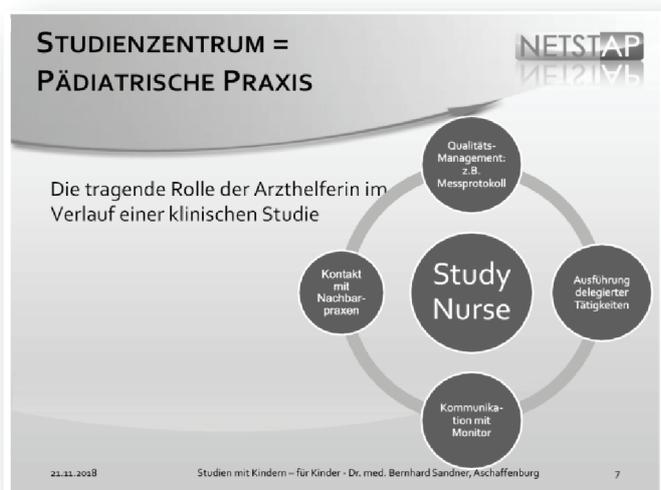


Abbildung 2
Die tragende Rolle der Arzthelferin.

Patienten und Eltern im Mittelpunkt, Kommunikation im Netzwerk

Die zuvor schon erwähnte Patienten-Zentrierung ergibt sich im Praxis-Alltag fast von allein, da Pädiater grundsätzlich in einer triadischen Beziehung stehen und den Dialog mit Patienten und Eltern zu gestalten haben. Spezifische Erfahrungen aus der täglichen Arbeit führen zwangsläufig zu Erkenntnissen darüber, wo aktuelle therapeutische Lücken sind (Beispiel Off-label-Verordnungen) und welche klinischen Bedarfe im Vordergrund stehen („Clinical need“). Zusätzlichen Input gibt es dabei immer wieder aus der Eltern-Selbsthilfe. Nicht zuletzt deswegen ist ein früher Basis-Dialog die optimale Vorgehensweise, wenn es darum geht, neue Studienprojekte auf den Weg zu bringen. Denn sowohl die rechtzeitige Beteiligung des Zentrums als auch des Netzwerkes ist für die klinische Machbarkeit einer Studie von überragender Bedeutung, da schon das Projekt-Design über Erfolg oder Scheitern einer klinischen Prüfung entscheiden kann. Beispielsweise werden von verantwortlichen Pharmaproduzenten (manchmal auch als „Sponsor“ bezeichnet) Prüfpläne, die für die Erwachsenenstudien ausgearbeitet wurden, nicht selten auf das Kindesalter übertragen. Wenn eine solche Studie dann bei Kindern und Jugendlichen gestartet wird, werden –eigentlich im Vorhinein kalkulierbare- Detailprobleme erst im Verlauf erkannt.

Die Folgen sind dann zumeist kostspielige Prüfplangergänzungen („Amendments“), die mit dem empfohlenen frühen Dialog zwischen Prüfarzt, Netzwerk und Pharma-Industrie wären, wie auch im Herbst 2018 von internationalen Experten auf dem Europäischen GCP-Forum hervorgehoben wurde.

Funktion und Bedeutung des Netzwerkes

Die Besonderheit des vorgestellten Netzwerkes besteht in der stetigen Kommunikation unter den Mitgliedern. Dies erfolgt innerhalb eines geschützten Intranet (Codierte Einwahl über das überregional bekannte Forum der Kinderumwelt gGmbH (www.uminfo.de)). Darüber hinaus werden bedarfsangepasste Telefonkonferenzen einberufen, um erforderliche kurzfristige Entscheidungen treffen zu können. Die verschiedenen Kommunikationswege werden mit der nachfolgenden Abbildung nochmals erklärt:

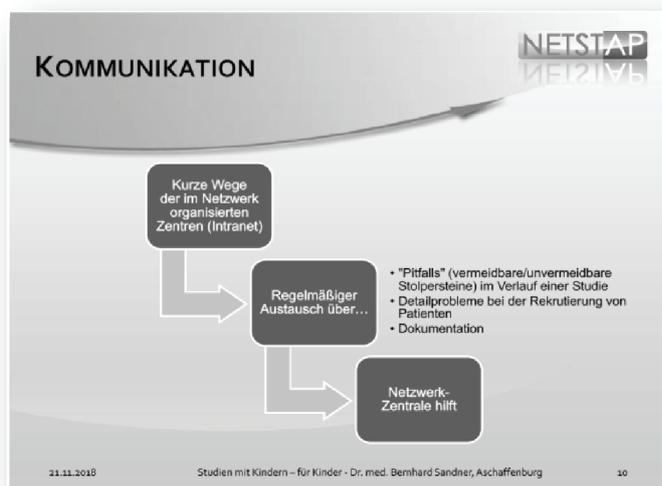


Abbildung 3
Kommunikationswege im Netzwerk

Somit bewährt sich die –bereits im Vorfeld erarbeitete- gegenseitige Vertrauensbasis, und zwar stets unter Wahrung größtmöglicher Neutralität. Anhand durchaus zahlreicher Erfahrungen unseres Netzwerkes im Verlauf diverser Studienprojekte der zurückliegenden Jahre wird deutlich, dass Studienzentrum, verantwortliches Pharmaunternehmen und Netzwerk wie Zahnräder fungieren können, die sich gegenseitig bewegen, ergänzen und damit das Ziel eines erfolgreichen Studienabschlusses gemeinsam erreichen.

Für interessierte Unternehmen der Pharmaindustrie besteht die Bedeutung eines Netzwerkes zunächst darin, dass quasi en bloc geschulte Studienzentren zur Verfügung stehen. Es erhält verlässliche Machbarkeitsprüfungen, weil das Studiendesign im Vorfeld konstruktiv erörtert wurde. Kostenintensive Amendments können vermieden werden. Durch die Tätigkeit des Netzwerkes entstehen kaum Reibungsverluste, zumal eine koordinierte und einheitliche Ansprache der Studienärzte stattfindet.

Über die verschiedenen Funktionen des Netzwerkes für das pädiatrische Studienzentrum informiert die folgende Abbildung.

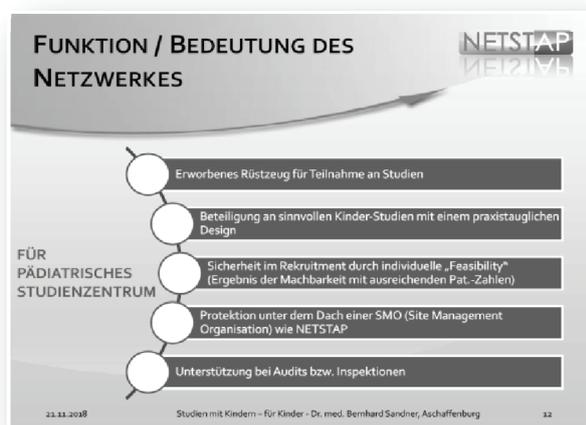


Abbildung 4
Die verschiedenen Funktionen des Netzwerkes.

Perspektiven und Fazit

Netzwerke sollten sich weiter vernetzen, und zwar in verschiedene Richtungen. Dabei muss als erster wichtiger Aspekt hervorgehoben werden, dass mehr (Kinder- und Jugend-)Ärzte an der Basis über ihre Möglichkeiten eigener Studienbeteiligung z.B. unter Protektion eines Netzwerkes informiert sein sollten und anhand erweiterter Kenntnisse ihre Kompetenz für die Beurteilung vernünftiger Studien („clinical need“!) bereits durch ihre Mitgliedschaft festigen könnten. In diesem Kontext eher unerfahrene Ärzte lassen sich (überwiegend aus Unkenntnis) nach wie vor regelrecht missbrauchen, indem sie an sogen. nicht-interventionellen Studien teilnehmen. Solche Untersuchungen sind grundsätzlich für die Arzneimittelsicherheit nach Markteinführung eines Medikamentes zwar wichtig, verfolgen in der Praxis aber überwiegend einen Marketingzweck, so dass die Organisation Transparency International für die meisten dieser Anwendungsbeobachtungen (AWB) den Begriff „legalisierte Korruption“ geprägt hat. Diese negative Konnotation ist keinesfalls unproblematisch, da medizinische Laien und Patienten oft nicht unterscheiden können zwischen einer klinischen Studie, die eine vorausgehende strenge Überprüfung bei Ethik-Kommissionen durchlaufen hat, und erwähnter AWB.

Der zweite wichtige Aspekt betrifft die pädiatrischen Netzwerke an sich, damit diese ihre Erfahrungen (z.B. Indikations-bezogen) mit anderen Netzwerken teilen und nutzen können. Hierzu leistete die Europäische Union einen wichtigen Beitrag, nachdem im Auftrag der Europäischen Arzneimittelbehörde EMA (European Medicines Agency) vor zehn Jahren ein Netzwerk für die Pädiatrie initiiert wurde, wo inzwischen auch die Mitwirkung von NETSTAP gern gesehen ist. Eines der gegenwärtigen internationalen Hauptprobleme bleibt,



Abbildung 5
Perspektiven.

dass es für zu viele –im Sinne der Arzneimittelsicherheit notwendige- Kinderstudien zu wenig Kinder gibt. Zusammenfassend sind gemeinsame -vernetzte- Anstrengungen erforderlich mit Blick auf Bewusstsein und Verständnis der regulatorischen sowie wissenschaftlichen Aspekte für die Entwicklung von Kinder-Arzneien.

Interessenkonflikt

Der Autor gehört zum pädiatrischen Beraterkreis im Kindernetzwerk, ist im NETSTAP-Vorstand tätig, verpflichtet sich zur Produkt- und Firmenneutralität und erklärt, dass keinerlei Interessenkonflikt den Ausführungen im Wege steht.

Dr. med. Bernhard Sandner
Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin
Pädiatrische Pneumologie und Allergologie
Zentrum Ambulante Medizin im Elisen-Palais Aschaffenburg

Literatur beim Verfasser

Berichte aus der Patienten-/Elternschaft zu Klinischen Studien **Kindernetzwerk: Eine Kampagne für Klinische Studien mit Kindern und Jugendlichen ist längst überfällig**

Selten war es bei einer Kindernetzwerk-Veranstaltung im Vorfeld derart schwierig gewesen, Patienten zu finden, die bereits an einer klinischen Studie teilgenommen haben und sich bereit erklären, darüber zu berichten. Monatelang hatte das Kindernetzwerk – auch mit Unterstützung des Kindernetzwerk-Arbeitskreises 4 „Junge Erwachsene“ – versucht, junge Patienten oder deren Eltern, die praktische Erfahrungen bei klinischen Studien gemacht haben. Erst drei Tage vor der Veranstaltung ist es dann gelungen, mit Hilfe der Universitäts-Kinderklinik aus Gießen den 16jährigen Johannes Hundte zu gewinnen, an der Veranstaltung teilzunehmen und aus der Perspektive eines Betroffenen Patienten zu berichten.

Die Kindernetzwerk-Vorsitzende Dr. Annette Mund sieht hierbei gleich ein ganzes Ursachenbündel, das sie wie folgt zusammenfasste:

- > Eltern und junge Patienten hegen Befürchtungen, dass im Rahmen von klinischen Studien ggf. der Datenschutz nicht hinlänglich beachtet werden könnte.
- > Die Neigung von Eltern von den studieneinbezogenen Kindern / Jugendlichen ist nicht besonders groß, darüber in der Öffentlichkeit offen zu sprechen. Studien sind immer noch häufig mit einem negativen Image behaftet, dem sich Eltern nicht stellen wollen.
- > Auch die Jugendlichen selbst finden es häufig nicht besonders „cool“, sich hier zu outen und klar Stellung zu beziehen. Viele fürchten, dabei in die Rolle des „Versuchskaninchens“ gedrängt zu werden und wollen sich daher dieser Gefahr erst gar nicht aussetzen.
- > Die Pharmaindustrie, von der die meisten klinischen Studien finanziert werden, hat heute nach wie vor ein schlechtes Image. Viele Familien sehen daher die Gefahr, dass bei einer Teilnahme an einer Studie sie in diesen negativen Sog mit hineingezogen werden könnten.
- > Viele Jugendlichen kritisieren, dass sie zwar ausführlich, aber nicht immer transparent und für jeden verständlich über alle Facetten, die mit einer klinischen Studie zusammenhängen, aufgeklärt und informiert worden sind. Auch aus diesem Grund erwächst eine gewisse Zurückhaltung, die sich insbesondere auch auf die Positionierung in der Öffentlichkeit negativ auswirkt.

Aus all dem, so Annette Mund, entstehe ein „gefühlte Blockade“ in den Köpfen, die durchaus nachvollziehbar sei. Hinzu treten weitere Schwierigkeiten insbesondere organisatorischer (Kinderstudien sind überdurchschnittlich aufwändig, hohe Drop-Out-Rate, Ausfüllen extrem umfangreicher Fragebögen).

Bei dem 16jährigen Johannes Hundte, der als Teilnehmer einer klinischen Studie bei der Veranstaltung von Kindernetzwerk und vfa in Frankfurt teilgenommen hatte, war das alles aber kein Problem. Er berichtete zunächst ganz offen von seiner Erkrankung Morbus Crohn, die im Jahr 2010 erstmals diagnostiziert worden ist. Nach der Diagnose musste er insgesamt zwei Monate stationär versorgt werden, zunächst im Krankenhaus in Marburg und später in der Spezialabteilung der Universitäts-Kinderklinik in Gießen unter Federführung der beiden Spezialisten Dr. Jan deLafollie und Prof. Klaus-Peter Zimmer. Erst im Laufe dieser Zeit in der Kinderklinik wurde ihm dann auch klar, dass er an einer chronischen Krankheit leidet, die ihn ein Leben lang ständig begleiten wird. Anfänglich war dies für ihn ein Problem, zumal es zunächst hieß, dass die Schmerzen bereits nach zwei Wochen wieder verschwinden würden und er damit dann geheilt sei. Heute aber - volle acht Jahre

später - ist die Krankheit immer noch da. Doch Johannes Hundte sagt nun: „Mit Morbus Crohn kann ich heute leben.“

Sein Alltag ist jedoch immer noch deutlich medizinischer ausgerichtet als das Leben von gleichaltrigen jungen Menschen. Zweimal pro Woche erhält er eine Spritze, einmal im Monat muss er in die Kinderklinik zur weiteren Behandlung und zur Überwachung des Status-Quo. Auf die Krankenschwestern und die behandelnden Ärzte, die ihn nunmehr im Rahmen der klinischen Studie seit acht Jahren begleiten, lässt er nichts kommen. Sie seien trotz des Zeitdrucks, dem das Klinikpersonal heute ausgesetzt ist, immer für ihn da und seien zu richtiggehend guten Partnern geworden. Nachdem er nun mit dem Fachchinesisch, das für ihn in der ersten Zeit sehr schwierig zu verstehen war, besser klar kommt, hat er sich nun an die kontinuierlichen Behandlungsprozeduren als junger und chronisch kranker Patient gewöhnt.

Die Vorbehalte, die viele gegen die Beteiligung an einer klinischen Studie vorzubringen haben, kann der 16jährige, der heute die 10. Klasse einer Realschule besucht, nicht nachvollziehen. „Ich hatte eigentlich nie das Gefühl in einer Studie drin zu sein, sondern hatte eher das Gefühl, dass ich auf diese Weise besonders gut behandelt werde.“ Der 16jährige kann daher auch nicht verstehen, dass viele Eltern es ablehnen, dass ihre Kinder oder Jugendliche an Studien teilnehmen: „Studien sind wirklich nichts Böses.“ Zwar musste auch er unterschreiben, dass seine Daten weitergegeben werden können, doch auch das stellte für ihn kein großes Problem dar.

Dies sah Prof. Dr. Albrecht Bufe von der Ruhr Universität Bochum und Sprecher des Netzwerks Kinder und Jugendliche für klinische Studien in der ambulanten Pädiatrie e.V. (Nestap) in der anschließenden Diskussion ganz genauso. Bei klinischen Studien würden ausschließlich „im geschützten Raum offene Gespräche mit den Kindern und den Eltern geführt“. Daher können die teilnehmenden jungen Menschen auch nicht als „Versuchskaninchen“ dargestellt werden, weil in diesem geschützten Raum keiner eingreifen könne, bekräftigte Bufe in Frankfurt. Zudem werde auch oft außer acht gelassen dass die Teilnahme an einer Studie - wie dies bei Johannes Hundte auch der Fall war - sehr eng mit einem besseren Heilungsprozess einer Erkrankung verknüpft ist. Dies liegt daran, dass die Studienteilnehmer häufig mit modernen Medikamenten oder Verfahren behandelt werden, die ansonsten anderen Patienten mit vergleichbaren Krankheiten in dieser Weise in der Regel nicht zur Verfügung stehen und ihre Betreuung wesentlich engmaschiger ist.

Das setzt aber ein enges Vertrauensverhältnis zwischen den Medizinern, die die Studie durchführen und den Patienten voraus, erklärte Dr. Bernhard Sandner, niedergelassener Kinder- und Jugendarzt aus Aschaffenburg, und Vorstandsmitglied von Nestap. Eine weitere Voraussetzung sei ein „intelligentes Studiendesign“, das allerdings nicht immer vorliegt und an dem in Zukunft noch weiter intensiv gefeilt werden muss, um klinische Studien attraktiver und vertrauenswürdiger zu machen. Dazu gehörte z. B. auch, dass es künftig keine Placebo-Gruppen mehr geben dürfe, da man betroffenen Kindern, die an einer schwerwiegenden Erkrankung leiden, nicht moderne Verfahren, die in klinischen Studien erprobt werden sollen, vorenthalten dürfe. Sandner: „3 Jahre Placebo Gaben kann man heute keinem mehr verkaufen.“

Daher plädierte Dr. Jens Lipinski, Leiter Patient Relations der Bayer Vital GmbH, dafür, in Zukunft noch viel mehr aufzuklären und auch mehr über Inhalte von klinischen Studien zu reden, als dies in der Vergangenheit der Fall gewesen ist. In der Zusammenarbeit mit dem Arbeitskreis „Junge Erwachsene im Kindernetzwerk“ seien auf beiden Seiten viele neue Erfahrungen gesammelt worden und in der Diskussion von Aufklärungsmaterialien schon viele Verbesserungsmöglichkeiten erarbeitet worden, die das Verständnis der Studien für Eltern

und Kinder bzw. Jugendliche erhöhen. Dies sieht er aber nur als einen kleinen Schritt, Vorbehalten und Unwissenheit zur Teilnahme an klinischen Studien für Kinder übergreifend zu begegnen.

Dr. Annette Mund griff als Kindernetzwerk-Bundesvorsitzende genau diese Vorlagen auf. Nur wer über klinische Studien besser informiert sei, könne auch eigenständige und fundierte Entscheidungen darüber treffen, ob er sich daran in Zukunft verstärkt beteiligen wolle oder eben nicht.

Deshalb forderte sie abschließend eine Kampagne für klinische Studien im Rahmen der derzeitigen Gesundheitskompetenz-Kampagne, die von verschiedenen Krankenkassen auf den Weg gebracht worden ist. Darin müssten zentrale Punkte enthalten sein, u. a. auch regulatorische Prozesse und ethische Aspekte, die bisher häufig deutlich zu kurz gekommen sind.

Diese verbesserte Aufklärung müsse auch vor dem Hintergrund eines verstärkten Kinderbewusstseins in Deutschland gesehen werden, das nach wie vor sehr unterentwickelt ist. Genau dieses Manko führe schließlich häufig zu Vorurteilen oder falschen Deutungen, wofür gerade auch das Thema „Klinische Studien für und mit Kindern und Jugendlichen“ ein Paradebeispiel sei.

Raimund Schmid
Dipl. Volkswirt
Geschäftsführer von Kindernetzwerk e. V.

Erfahrungen von Patientenbeteiligung bei der Erstellung von Aufklärungsmaterialien für Klinische Studien

Wie ein erfolgreiches „Miteinander“ funktionieren kann

Gute Zusammenarbeit kann man nur begrenzt planen. Kindernetzwerk und Bayer jedenfalls haben sich entschlossen, sich auf einen gemeinsamen Weg zu begeben, um Aufklärungsmaterialien für die Teilnahme an klinischen Studien für Kinder zu verbessern. Dieses „Zusammen“ setzt sich darin fort, dass hier die verschiedenen Schritte auf dem Weg zu einem erfolgreichen Miteinander von den zentralen Ansprechpartnern beider Institutionen im Dialog vorgestellt werden.

Dr. Lipinski (Bayer): Ich erinnere mich noch gut an das erste Gespräch. Wir haben damals überlegt, welches Projekt sowohl für Eltern bzw. Kinder als auch für uns als Pharmaunternehmen bedeutsam sein könnte. Wir sind spontan auf zahlreiche Themen gekommen, die in der Entwicklung eines (kranken) Kindes zum Erwachsenen für beide relevant werden können. Den Ausschlag für eine intensivere Beschäftigung mit dem Thema „Aufklärung zu klinischen Studien“ gab zum einen die damalige Diskussion mit Frau Mund, zum anderen ein aktueller Bayer-interner Artikel. Unter dem Titel „Kinder sind keine kleinen Erwachsenen“ beschrieb damals eine Kollegin, wie wichtig Wissen über die Dosis und Wirkung von Arzneimitteln bei Kinder und Jugendlichen ist und wie sehr dadurch die Sicherheit der Anwendung unterstützt wird.

Dr. Mund (Kindernetzwerk): Als ich Herrn Lipinski kennen lernte, hatte es schon einige wenige Zusammenarbeiten mit der Pharmaindustrie gegeben. Dennoch gab es bislang kein Projekt, das sich schon nach kurzer Diskussion und Recherche als so sinnvoll herausstellte, denn so konnte eine lang bestehende Forderung der Selbsthilfe, frühzeitig in die Gestaltung von klinischen Studien einbezogen zu werden, im Kleinen beginnen.

Lipinski: Wir haben uns zu einem ersten Austausch in unserem Forschungszentrum in Wuppertal getroffen. Neben Frau Mund nahm von Seiten des Kindernetzwerks die Leiterin des Arbeitskreises „Gute Kooperationen“ teil, die früher in der Pharmaindustrie gearbeitet hatte und inzwischen Firmen und Patientenorganisationen in „guter Zusammenarbeit“ berät. Die Bayer-Seite wurde durch die Kollegin verstärkt, die den Artikel in unseren News geschrieben hatte und die als Kinderärztin seit mehreren Jahren Studien für Kinder und Jugendliche für Bayer mit geplant und durchgeführt hatte. Wir stellten schnell zusammen fest, dass es großen Sinn macht, sich gemeinsam damit zu beschäftigen, wie Studien Kind-gerechter werden können. Aus der Vielzahl dabei möglicher Themen beschlossen wir, uns im ersten Schritt auf Informationsmaterialien zur Aufklärung für die Kinder und Jugendlichen sowie ihrer Eltern zu fokussieren. Für eine gemeinsame Ausgangsbasis haben wir vereinbart, dass Bayer eine Internet-Recherche zu diesem Thema durchführt und dass das Kindernetzwerk das Interesse hierzu in seinen Mitgliedsorganisationen abfragt.

Mund: Wir befragten unsere Mitgliedsorganisationen, wie hoch ihr Interesse am großen Thema der klinischen Studien für Kinder und Jugendliche sei und wie wahrscheinlich es sei, dass sie sich für dieses Thema in einem aktiv arbeitenden, aber zeitlich begrenzten Arbeitskreis engagieren wollten.

Lipinski: Rückblickend war der von Anfang an ehrliche und offene Dialog ein wesentlicher Baustein, dass wir heute noch an diesem Thema weiter zusammenarbeiten. Im Laufe der ersten Monate wurde mir erst richtig bewusst, dass wir - wenn 40% aller bei Kindern und sogar bis zu 90% der bei Neugeborenen eingesetzten Arzneimittel für diese Altersgruppen nicht zugelassen sind - einen enormen Bedarf haben, dass Arzneimittel auch für Kinder entwickelt und untersucht werden und dies von Behörden auch gefordert wird.

Andererseits muss für die Motivation zur Evidenzgenerierung in kontrollierten Studien auch gesehen werden, dass Kinderärzte historisch eine teilweise jahrelange und gute Erfahrung mit der Anwendung bisher nicht zugelassener Arzneimittel haben und dass Eltern ihre Kinder oft ungern an Studien teilnehmen lassen möchten. *Wir haben deshalb mehr als einmal miteinander diskutiert, wie wir das öffentliche Meinungsbild von „Schutz von Kindern vor Forschung“ zu „Schutz von Kindern durch Forschung“ verändern könnten.*

Mund: Es war für mich erschreckend festzustellen, dass die Mehrzahl der angesprochenen Mitgliedsorganisationen kein Interesse am Thema zu haben schien. Man hatte das Thema nicht „auf dem Schirm“. Die Tatsache des weit verbreiteten Off-Label-Uses in seiner umfänglichen Bedeutung schien nur für die Mitgliedsorganisationen ein Thema zu sein, die sich mit schwer beherrschbaren Erkrankungen/Behinderungen beschäftigen. So war es nicht einfach, Menschen zu finden, die sich für das Thema interessierten und bereit waren, an einem Round-Table mit Bayer teilzunehmen.

Lipinski: Das erste Treffen mit Vertretern des Kindernetzwerkes war für uns in mehrfacher Hinsicht dann etwas ganz Besonderes. Wir hatten zwar miteinander eine Agenda vereinbart, aber wie dann die Diskussion verlaufen würde, konnten wir nicht vorhersehen. Vom Kindernetzwerk waren Vertreter gekommen, deren Kinder schon eigene Studienerfahrung hatten oder die als junge Erwachsene noch potenzielle „Zielgruppe“ unserer Aufklärungsinformationen waren, aber auch ein Kinderarzt, der in einem Netzwerk von Studienärzten arbeitet. Meine Sorge, dass meine Kollegen, die einige der diskutierten Beispiel-Materialien mit entwickelt hatten, in einen „Rechtfertigungsmodus“ schalten würden, war schnell vergessen, denn zum einen war das Feedback der Vertreter des Kindernetzwerkes vielfach einleuchtend, zum anderen klang in den Beiträgen ein hohes Verständnis für unsere vielfältigen inhaltlichen und formalen Herausforderungen mit. Als wäre es gestern gewesen, erinnere ich mich beispielsweise an die Empfehlung, Aufklärungsmaterialien nicht nur für das Gespräch zwischen Arzt und (zumeist) Mutter zu entwickeln, sondern auch daran zu denken, dass es die zentrale schriftliche Information ist, anhand derer sich der zuhause gebliebene Elternteil ein Bild vom Besprochenen machen kann. Ohne zu sehr ins inhaltliche Detail gehen zu wollen, kann ich hier auf jeden Fall berichten, dass alle Bayer-Kollegen das gemeinsam Erarbeitete als sehr wertvoll empfunden haben.

Mund: Das Treffen war für mich und die anderen Vertreter aus den Reihen der Kindernetzwerkmitgliedsorganisationen in jeder Hinsicht erhellend. Die Patientenvertreter, deren Kinder schon an Studien teilgenommen hatten, konnten viele Punkte in die Diskussion bringen, die aus eigenem Erleben stammten. Offen und ohne Kritik befürchten zu müssen, stellten sie empfundene und erlebte Stolpersteine innerhalb ihrer Studienerfahrungen dar, die sich thematisch anhand der Materialien ergaben. Die darauf folgenden Erklärungen und Darstellungen der Bayer-Mitarbeiter ließen dann viele Erfahrungen in einem anderen Licht erscheinen. Es war für uns alle sehr interessant zu erfahren, warum was wie und in welcher Art und Weise gemacht werden muss. So war es für uns nicht unbedingt einsichtig, warum manche der Textpassagen so lang und umständlich formuliert sein mussten. Wir lernten aber, dass manche Passagen juristisch vorgegeben und nicht oder nicht leicht zu ändern sind.

Lipinski: Nachdem wir das erste Treffen in Leverkusen noch als „Workshop“ ausgerichtet hatten, haben wir mit dem Kindernetzwerk vereinbart, die nächsten Treffen als „Adboard“ durchzuführen. Konkret hieß das, dass wir uns von Vertretern des Kindernetzwerkes „beraten“ lassen wollten, wie wir konkrete Aufklärungsmaterialien verbessern können. Dafür erhielten das Kindernetzwerk und seine Vertreter dann eine Aufwandsentschädigung bzw. ein Honorar.

Obwohl wir schon gute Erfahrungen in der Zusammenarbeit gemacht hatten, standen wir von Bayer-Seite bei der Planung dann vor dem Problem, dass wir möglicherweise ein Feedback zu den deutschen Materialien bekommen, für das wir nicht garantieren konnten, dass es in den international entwickelten und verwendeten Dokumenten Berücksichtigung finden können wird. Mit dem Kindernetzwerk haben wir dann erst einmal vereinbart, dass wir das Adboard auf Basis von Aufklärungsmaterialien planen, die bereits in einer laufenden Studie eingesetzt wurden und deshalb also nicht mehr veränderbar waren. Die Hinweise waren erneut so wertvoll, dass wir dann für den dritten Workshop beschlossen, Informationen zu besprechen, die für eine in Kürze startende Studie geplant und die bereits auf Basis der bisherigen Anregungen verbessert worden waren. Aus jedem der Treffen mit dem Kindernetzwerk haben wir wertvolle Vorschläge mitgenommen.

Mund: Es ist wichtig zu erkennen, dass man zwar eine Meinung haben kann, diese aber baldmöglichst durch eine wissenschaftliche Erkenntnis ersetzt werden sollte. Die Vertreter der Mitgliedsorganisationen und auch ich erkannten schnell, dass wir, obwohl teilweise Studien-erfahren, von vielen Details nur eine Meinung hatten, aber keine Erkenntnis. Nach Erklärungen und Faktencheck konnten wir aber bald Erkenntnisse verzeichnen. Dann war es uns möglich, den Fachleuten zu erklären, wie welche Formulierung auf eine bestimmte Altersgruppe wirkt, warum welche Formulierung eher abschreckt als einlädt, weshalb in manchen Fällen eine grundlegend andere Beschreibung notwendig war. Beispiel: Informationen über die Notwendigkeit und über die Art und Weise der Verhütung sollten – je nach Alter – nicht mehr zusammen mit den Eltern gelesen und besprochen werden. Es war den Patientenvertretern sofort klar, dass hier Grenzfälle überschritten werden und bestimmte Dinge von den Jugendlichen nur in einem eigenen Fragebogen und einem Arztgespräch ohne Eltern beantwortet werden können. Dies war eine weitere wichtige Information für die Bayer-Mitarbeiter, die dieses sensible Thema bisher nicht aus der Perspektive der Jugendlichen betrachtet hatten.

Lipinski: Ich glaube, dass es - neben anderen - zwei wichtige Rahmenbedingungen gibt, die unsere Zusammenarbeit so erfolgreich gemacht haben. Zum einen haben wir unsere Organisations-gegebenen Grenzen immer respektiert. Zum anderen waren wir immer transparent gegenüber Dritten - wie beispielsweise auch die gemeinsame Präsentation und dieser Bericht zeigen. Wir haben untereinander vertrauensvoll miteinander interagiert, und inhaltlich habe ich immer noch das Gefühl, dass wir auf dem richtigen Weg sind. Doch brauchen wir mehr „Mitmacher“, denn nur wenn das Kindernetzwerk mit mehreren Pharmafirmen, idealerweise unterstützt durch Ärzte und Behörden, dieses Thema weiter vorantreibt, haben wir die Chance, eine Veränderung zu bewirken. Dabei müssen wir auch berücksichtigen, dass die weit überwiegende Mehrzahl der Zulassungsstudien international, d.h. in vielen Ländern geplant und durchgeführt wird. Je enger wir aber zwischen deutschen Patientenorganisationen und deutschen Pharmabereichen zusammenarbeiten, umso höher ist die Wahrscheinlichkeit, dass dies Einfluss auf die Studiendesigns und -materialien haben kann. Auf europäischer Ebene gibt es schon gemeinsame Initiativen, an denen auch Bayer-Kollegen beteiligt sind (z.B. Conect4Children), für die es aus meiner Sicht ggf. Sinn machen könnte, dass sich auch das Kindernetzwerk als die deutsche Kindervertretungsorganisation beteiligt. Wir jedenfalls stehen schon in den Startlöchern für Diskussionen mit dem Kindernetzwerk zur nächsten Kinderstudie.

Mund: Mich freut die gute Zusammenarbeit mit Bayer sehr. Gerade den Kritikern, die immer den erhobenen Zeigefinger warnend vor sich hertragen - Cave Pharma!! - konnte gezeigt werden, dass eine vertrauensvolle und auf gegenseitigem Respekt beruhende Zusammenarbeit gute Ergebnisse hervorbringen kann. Ein wesentliches Anliegen des Kindernetzwerk e.V. ist die Verbesserung der Versorgung chronisch kranker und behinderter Kinder und Jugendlicher.

Klinische Studien können helfen, das weite Feld des Off-Label-Use trocken zu legen und Arzneimittelbehandlungen bei Kindern sicherer zu machen. Gerade wenn sich Patientenorganisationen mit ihrer erlebten Kompetenz frühzeitig in das Studiendesign einbringen, können Studien(-Materialien) Patienten-gerechter gestaltet werden und klinische Studien für Kinder immer besser gelingen. Das ist aber nur dann möglich, wenn Industrie und Selbsthilfe in guter Weise zusammenarbeiten.

Dr. Annette Mund
1. Vorsitzende von Kindernetzwerk e. V.

Dr. med. Jens Lipinski
Patient Relations, Bayer Vital GmbH

Klinische Studien - wo gibt es Informationen, wie wird man Teilnehmer in einer Studie? **aus Sicht der ambulanten Pädiatrie**

Wie werde ich Teilnehmer einer klinischen Studie?

- > Geeignete Studie finden
- > Prüfzentrum identifizieren
- > Einschlusskriterien
- > Ausschlusskriterien
- > Studieninformationen verstehen
- > Einwilligung unterschreiben

Was muss ich mitbringen?

- > Verständnis für Bürokratie
- > Interesse
- > Etwas Mut
- > Vertrauen
- > Zeit und Geduld
- > Zuverlässigkeit

Welche Hürden muss man nehmen?

- > Einverständniserklärung
- > Ein- und Ausschlusskriterien
- > Evtl. zusätzliche diagnostische Eingriffe
- > Evtl. auch mal Nebenwirkungen aushalten

Welche Unterstützung kann ich erfahren?

- > Aufklärungsmaterial (NETSTAP-Broschüre)
- > Ausführliche Studienaufklärung durch Prüfarzt
- > Unterstützung durch erfahrene Study-Nurses
- > Auf Familie abgestimmtes Terminmanagement
- > Fahrtkostenerstattung für Studientermine

NETSTAP-Broschüre

- > Warum klinische Studien mit Kindern?

Was sollte ich besser nicht tun?

- > Vorschnelle Entscheidungen treffen
- > Kind oder Partner zur Studie überreden
- > Schlecht schlafen wegen Studiensorgen
- > Nach Honorar fragen
- > Unwahre Angaben machen

Linkverzeichnis: Wo finde ich geeignete Studien?

www.who.int/ictrp/child/en/	Das weltweite Register der Weltgesundheitsorganisation für klinische Studien bei Kindern
www.clinicaltrialsregister.eu	Alle Studien, die in Europa die Zulassung eines Medikamentes anstreben
www.clinical.trials.gov	Alle Studien, die in den USA die Zulassung eines Medikamentes anstreben
www.drks.de	Das deutschsprachige Studienregister unter dem Dach vom Deutschen Institut für Medizinische Dokumentation und Information
www.kks.de	An Universitäten in Deutschland angesiedelte Übersicht über Studienzentren
www.kinderkrebsinfo.de	Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie, Netzwerk mit Studienportal
www.allergieinformationsdienst.de	Informationen über Allergien und Studien an allergologischen Fachkliniken
www.netstap.de	Netzwerk Kinder- und Jugendärzte für klinische Studie in der Ambulanten Pädiatrie, Übersicht über laufende oder geplante Studien
www.vfa.de	Vielseitige Informationen zur Pharmaforschung, auch zu Studien mit Kindern, Zusammenarbeit mit Selbsthilfegruppen
www.kindernetzwerk.de	Eigene Datenbanken zu seltenen Erkrankungen, Elternregister; stellt viele Kontakte zu Spezialisten, Betroffenen und auch Selbsthilfegruppen her
www.nakos.de	Bundesweite Datenbank für Selbsthilfegruppen
www.dmd-register.de	Europaweites Netzwerk für Muskeldystrophie Duchenne, aktuell ca. 1.500 Patienten registriert; Übersicht über aktuelle Studien, Einladung zu möglicher Studienteilnahme

Dr. med. Rolf Ebert
Arzt für Kinder- und Jugendmedizin
Allergologie, Kinderpneumologie und
Umweltmedizin

Klinische Studien - wo gibt es Informationen, wie wird man Teilnehmer in einer Studie? aus Sicht der pharmazeutischen Industrie

Es gibt zwei verschiedene Arten von Studien. Die einen überprüfen, wie verträglich und sicher ein Medikament ist. Dafür müssen die Probanden gesund sein.

In anderen klinischen Studien wird getestet, wie wirksam das neue Medikament gegen eine bestimmte Krankheit ist. Hierfür werden Patienten gesucht, die die entsprechende Krankheit haben

Allgemeine Informationen zur klinischen Studien gibt es auf offiziellen Seiten, den sogenannten Studienregistern, wie zum Beispiel www.ClinicalTrials.gov oder dem Europäischen Studien Register www.clinicaltrialsregister.eu diese sind allerdings in englischer Sprache und der Patient erhält teilweise nur eingeschränkte Informationen.

Patientengerechte Informationen erhält man auf speziell für Patienten entwickelte Suchplattformen, wie zum Beispiel www.mondosano.de, www.viomedo.de oder www.clinlife.de um nur einige exemplarisch zu benennen. Hier können Patienten sich informieren welche Studien in einer bestimmten Erkrankung derzeit laufen. Diese Plattformen sind nutzerfreundlich und man bekommt in der Regel Information darüber, ob eine Studie bei Interesse in der Nähe durchgeführt wird und bietet die Möglichkeit der Kontaktaufnahme. Der Patient hat die Möglichkeit sich zu registrieren und dann Bedarf kontaktiert.

Eine weitere Option bieten die Plattformen von Auftragsforschungsinstituten (Contract Research Organization, CRO) oder Site Management Organisationen wie zum Beispiel www.parexel.de, www.crs.de, oder www.emovis.de, www.kfgn.de und www.synexus.de. Auftragsforschungsinstituten führen vielfach auch Probandenstudien durch, bei denen je nach Einsatzgebiet die Verträglichkeit und Sicherheit überprüft wird. Die Site Management Organisationen sind reine medizinische Einrichtungen/Praxen, die sich auf die Durchführung von klinischen Studien spezialisiert haben.

Desweiteren bieten die Fachverbände oder -gesellschaften, für die entsprechende Erkrankung, entsprechende Informationen auf ihren Internetseiten z.B. das Deutsche Krebsforschungszentrum www.dkfz.de oder der Lungeninformationsdienst www.lungeninformationsdienst.de, sowie auf den entsprechenden Seiten der Patienten Organisationen oder Selbsthilfegruppen der entsprechenden Erkrankung, den Universitätskliniken und Krankenhäuser.

Zu guter Letzt erhält man natürlich auch Informationen über klinische Studien bei den forschenden Pharmafirmen selbst.

Dr. Michael Kretschmann
Head of SM DACH
Bayer AG
Research & Development, Pharmaceuticals

Weitergehende Fragen? Nehmen Sie Kontakt auf

Dr. med. Sabine Scherer
Fachärztin für Kinderheilkunde und Jugendmedizin/Pediatrician
Stabstelle EU / European and international affairs
Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte
Tel.: +49 228 207-3254
Mail: Sabine.Scherer@bfarm.de

Prof. Dr. med. Albrecht Bufe
Kinder- / Jugendarzt und Allergologe
Leiter der Abteilung Experimentelle Pneumologie
Ruhr-Universität Bochum
ZKF II, 2.060
Universitätsstraße 150
44801 Bochum
Tel.: +49 234 32 21922
E-Mail: albrecht.bufe@rub.de

Dr. med. Bernhard Sandner
Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin
Pädiatrische Pneumologie und Allergologie
Zentrum Ambulante Medizin im Elisen-Palais Aschaffenburg
Elisenstraße 28
63739 Aschaffenburg
Tel.: +49 6021 260 50
E-Mail: sandnerbernhard@googlegmail.com

Raimund Schmid
Dipl. Volkswirt
Geschäftsführer von Kindernetzwerk e. V.
Tel.: +49 6021 454 40 19
E-Mail: schmid@kindernetzwerk.de

Dr. Annette Mund
1. Vorsitzende von Kindernetzwerk e. V.
Zeisigweg 4
53639 Königswinter
Tel.: +49 2244 87 33 83
E-Mail: mund@kindernetzwerk.de

Dr. med. Jens Lipinski
Patient Relations, Bayer Vital GmbH
BV-PH-MAX, Market Access
Gebäude K56 3.C121
51366 Leverkusen
Tel.: +49 214 30 51994
E-Mail: jens.lipinski@bayer.com

Dr. med. Rolf Ebert
Arzt für Kinder- und Jugendmedizin
Allergologie, Kinderpneumologie und Umweltmedizin
Würzburger Straße 1
97941 Tauberbischofsheim
Tel.: +49 9341 3100
E-Mail: dr.rolf.ebert@t-online.de

Dr. Michael Kretschmann
Head of SM DACH
Bayer AG
Research & Development, Pharmaceuticals
Building P300, A045
13342 Berlin
Tel.: +49 30 4681 7309
E-Mail: michael.kretschmann@bayer.com

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

Hanauer Straße 8

63739 Aschaffenburg

Telefon: 0 60 21/1 20 30

E-Mail: info@kindernetzwerk.de

Internet: www.kindernetzwerk.de

Spendenkonto

Sparkasse Aschaffenburg-Alzenau

Spendenkonto-Nr. 924 290

IBAN DE0279550000000924290

BIC BYLADEM1ASA

Vorstand

Dr. Annette Mund (1. Vorsitzende)

Julia Rebbert (1. Stellvertretende Vorsitzende)

Volker Koch (2. Stellvertretender Vorsitzender)

Dr. Richard Haaser (Kassenwart)

Dr. Theodor Michael (Schriftführer)

Prof. Dr. Dr. h.c. Hubertus von Voß (Ehrenvorsitzender)

Geschäftsführer

Dipl. Volkswirt Raimund Schmid

Gestaltung

Hartmut Kreuzt

Fotos

Hartmut Kreuzt

Druck

Kindernetzwerk e.V.

Stand

März 2019