

**knwaktiv**  
Hilfen zur Selbsthilfe

**knw Handreichung für Eltern**  
Passend für die jungen Patienten  
und Patientinnen – Herausforderungen  
und Lösungsansätze bei  
Klinischen Arzneimittelstudien mit  
Kindern und Jugendlichen

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



# **Passend für die jungen Patienten und Patientinnen – Herausforderungen und Lösungsansätze bei Klinischen Arzneimittelstudien mit Kindern und Jugendlichen**

Kooperationsveranstaltung von knw Kindernetzwerk e.V. und dem Verband forschender Arzneimittelhersteller e.V. (vfa) vom 22.11.2023

**vfa.** Die forschenden  
Pharma-Unternehmen

*Damit Sie den Überblick behalten*

## Das Inhaltsverzeichnis

<i>„Passend für die jungen Patienten und Patientinnen – Herausforderungen und Lösungsansätze bei klinischen Arzneimittelstudien mit Kindern“</i> .....	<b>3</b>
<i>Einführung in die klinischen Studien</i> .....	<b>5</b>
<i>Input zum Thema Kinderarzneien aus der Politik</i> .....	<b>7</b>
<i>Klinische Studien aus Patient:innensicht: Was lief gut, was ginge besser?</i> .....	<b>10</b>
<i>Aufnahme der jungen Patient:innen in der medizinischen Praxis?</i> .....	<b>13</b>
<i>Einblicke forschender Pharma-Unternehmen</i> .....	<b>16</b>
<i>Abschließende gemeinsame Diskussion</i> .....	<b>18</b>
<i>Weitergehende Fragen?</i> .....	<b>20</b>
<i>Alles, was Recht ist</i> .....	<b>22</b>

## *„Passend für die jungen Patienten und Patientinnen – Herausforderungen und Lösungsansätze bei klinischen Arzneimittelstudien mit Kindern“*

### Ziele und Inhalte der Veranstaltung

*Die medizinische Versorgung von Kindern und Jugendlichen mit seltenen und chronischen Erkrankungen sowie Behinderungen bleibt trotz Therapieverbesserungen eine große Herausforderung. Der häufige Off-Label-Gebrauch von Medikamenten, die primär an Erwachsenen getestet wurden, stellt ein gravierendes Problem dar und kann Nachteile für betroffene Kinder und Jugendliche verursachen. Daher sind klinische Arzneimittelstudien in dieser Altersgruppe entscheidend, um die Sicherheit und Wirksamkeit von Medikamenten zu gewährleisten. Die besonderen Herausforderungen bei der Durchführung solcher Studien liegen in der Vulnerabilität dieser Gruppe, für die der Schutz von Rechten und Wohlbefinden besonders wichtig ist.*

Das Kindernetzwerk e.V. macht sich seit über 30 Jahren für Familien mit chronisch kranken oder behinderten Kindern und jungen Erwachsenen stark. 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 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.

Noch immer gibt es zu wenig klinische Studien für Kinder und Jugendliche. Besonders Studien für seltene Erkrankungen gestalten sich ethisch als schwierig mit Blick auf Placebokontrollgruppen. Dennoch gibt es eine große Bereitschaft unter den Sorgeberechtigten der betroffenen Kinder und Jugendlichen. Es sind die Zusammenarbeit und das Vernetzen, welche eine entscheidende Rolle in der Forschung einnehmen.

Die Einbeziehung der betroffenen Kinder, Jugendlichen und ihrer Familien sowie die Beachtung ethischer Richtlinien sind von entscheidender Bedeutung. Nur durch ein ganzheitliches Vorgehen kann die angemessene Entwicklung und Prüfung von Medikamenten gewährleistet werden, um die Gesundheit und Sicherheit dieser vulnerablen Bevölkerungsgruppe zu verbessern.

Im Online-Format vom 22.11.2023 wurden viele Aspekte aus der Thematik behandelt und diskutiert. Die Veranstaltung wurde von Kathrin Jackel-Neusser, einer der Geschäftsführerinnen des knw, und Ulf Birke, Manager Bereich Gesundheitspolitik beim vfa, moderiert.

Die vorliegende Handreichung greift einige der wichtigen Vorträge der Referent:innen auf und richtet sich speziell an betroffene Familien und junge Erwachsene. Die nachfolgenden Texte erheben keinen Anspruch auf Vollständigkeit oder Ausschließlichkeit. Bei Fragen, die der Text nicht beantworten konnte, wenden Sie sich gerne an die Geschäftsstelle von Kindernetzwerk e.V.

## Einführung in die klinischen Studien

### Grundlage der Arzneimittelentwicklung und Chancen für kleine und große Patient:innen

von Dr. Thorsten Ruppert

*Dr. Thorsten Ruppert, Senior Manager im Bereich Forschung und Entwicklung beim vfa, gab zu Beginn der Veranstaltung eine Einführung in die Arzneimittelforschung und zeigte die daraus resultierenden Chancen für Kinder und Jugendliche auf. Denn mehr klinische Forschung bedeute auch mehr Behandlungschancen für die jungen Patient:innen.*

Die Frage wie Arzneimittelforschung am Menschen angewandt werden könne, stehe im Zeichen eines klaren Grundsatzes: So wenig Menschen wie möglich sollen einer Substanz mit wissenschaftlich noch nicht belegter Wirksamkeit und Verträglichkeit ausgesetzt werden. Dennoch sei es gleichzeitig erforderlich, so viele Menschen wie nötig einzubeziehen, um den wissenschaftlichen Nachweis für Wirksamkeit und Sicherheit zu erbringen. Diese Grundsätze dienen der Risikominimierung und werden durch ein schrittweises Vorgehen in drei klinischen Prüfungsphasen bis zur Zulassung umgesetzt. Dr. Thorsten Ruppert fasste die drei Phasen in seinem Beitrag wie folgt zusammen:

Die **erste Phase** umfasst Erprobungen mit gesunden erwachsenen Freiwilligen, bei denen in 25 bis 30 kleinen Tests die Aufnahme, Verteilung, Umwandlung, Ausscheidung und Verträglichkeit der Substanz untersucht werden. Diese Phase erfordert die Genehmigung des Prüfplans durch die Zulassungsinstitute und Ethik-Kommissionen.

Die **zweite Phase** setzt sich aus Erprobungen mit wenigen Patient:innen zusammen. Hier stehen Wirksamkeit, Verträglichkeit und optimale Dosierung im Fokus. Die Teilnahme erfolgt auf freiwilliger Basis nach umfassender Aufklärung. Auch diese Studien müssen eine Genehmigung, wie in der ersten Phase, erhalten.

Die **dritte Phase** involviert viele Patient:innen, typischerweise 1.000 bis 10.000 Personen. Neben der Freiwilligkeit und Aufklärung werden in dieser Phase mögliche Wechselwirkungen mit anderen Medikamenten bei unterschiedlichen Patientengruppen untersucht. Die gewonnenen Daten fließen in die Nutzen-Risiko-Abwägung ein, die für die Zulassung entscheidend ist. In der Regel sind mindestens zwei unabhängige kontrollierte klinische Prüfungen notwendig, die die statistische Signifikanz der Wirksamkeit nachweisen sollen. Dabei handelt es sich oft um randomisierte Doppel-

blindstudien, bei denen die neue Behandlung mit einer anderen verglichen wird. Die Entscheidung, wer welche Behandlung erhält, erfolgt nach dem Zufallsprinzip. Die Auswertung zeigt die Wirksamkeit und Verträglichkeit der neuen Behandlung im Vergleich zur Standardbehandlung auf.

Studien, so Dr. Thorsten Ruppert, würden häufig multizentrisch und multinational durchgeführt, um genügend teilnehmende Patient:innen zu gewinnen und ethnische Diversität zu berücksichtigen. Die freiwillige Einwilligung zur Teilnahme sei dabei essenziell, und die Studienteilnehmer:innen werden vor, während und nach der Studie umfassender untersucht und intensiver betreut als es in einer Routineversorgung möglich sei. Des Weiteren böten diese Studien nicht nur Chancen auf Behandlung mit neuesten Therapien, sondern sie hielten ebenso Kliniken und Praxen ständig auf dem neuesten Stand.

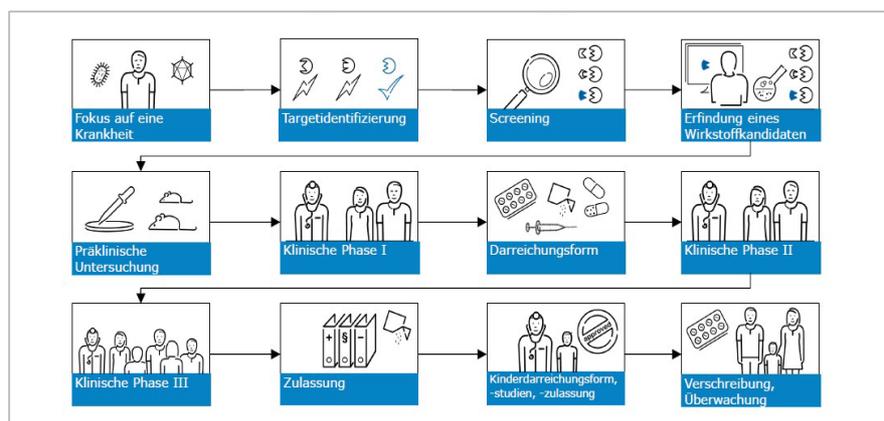


Abbildung 1: Dr. Thorsten Ruppert (vfa): Arzneimittelforschung und -entwicklung. Die unterschiedlichen Stationen der klinischen Studien.

Klinische Studien mit Kindern und Jugendlichen würden nach einem sorgfältigen pädiatrischen Entwicklungsplan erfolgen. Die Einwilligung beider Eltern sei hierzu meist erforderlich, und es würden zusätzliche Schutzbestimmungen gelten, um den direkten Nutzen für die Kinder und Jugendlichen zu gewährleisten. Darüber hinaus würde auf eine altersgerechte Aufklärung und auch auf eine zusätzliche Einwilligung der Kinder geachtet werden. Letztlich haben diese Studien minimal belastend zu sein und würden erst nach erfolgreichen Untersuchungen an Erwachsenen erfolgen.

Dr. Thorsten Ruppert erläuterte, dass mehr klinische Forschung nicht nur mehr Behandlungschancen für Patient:innen und bessere Fortbildungsmöglichkeiten für Ärzt:innen bedeute, sondern auch dazu beitrage, die Entwicklungszeiten von Medikamenten zu verkürzen. Die intensive Beteiligung Deutschlands an klinischen Studien beschleunige den Gesamtprozess und ermögliche Patient:innen frühzeitig den Zugang zu Medikamenten im Rahmen von Härtefallprogrammen.

## *Input zum Thema Kinderarzneien aus der Politik*

### Klinische Studien im pädiatrischen Bereich / Förderung von Kinderarzneimitteln

von Martina Stamm-Fibich

*Martina Stamm-Fibich, Bundestagsabgeordnete der SPD, ist im Ausschuss für Gesundheit und zuständig für Arzneimittel, Medizinprodukte, Patient:innenrechte, Heil- und Hilfsmittel sowie seltene Erkrankungen. Sie referierte aus Sicht der Politik und betonte, dass mit Unterzeichnung der UN-Behindertenrechtskonventionen eine adäquate Arzneimittelversorgung einhergehen müsse. Dies sei jedoch nicht der Fall.*

Martina Stamm-Fibich zufolge stelle die Off-Label-Nutzung von Medikamenten mit Blick auf klinische Studien für Kinder und Jugendliche ein Problem dar. So würden Schätzungen zufolge in Europa zwischen 10 und 30 Prozent der Patient:innen im ambulanten Bereich Arzneimittel in einer off-Label-Anwendung erhalten. Im stationären Bereich stiege diese Quote sogar auf 45 bis 60 Prozent, während im intensivmedizinischen/neonatologischen Bereich praktisch keine spezifischen Kinderarzneimittel vorhanden seien, was zu Off-Label-Anwendungen in bis zu 90 Prozent der Fälle führe. Diese weitverbreitete Praxis des Off-Label-Einsatzes berge zahlreiche Nachteile:

- > erhöhtes Risiko der möglichen Nebenwirkungen
- > Verantwortung der Arzneimittelverordnung liegt bei Ärzt:in
- > mögliche Anzweiflung der Kostenübernahme seitens der gesetzlichen Krankenkassen
- > Manipulation der Darreichungsform (geschieht besonders dann, wenn es keine altersgerechte Darreichungsform gibt)
- > erhöhtes Risiko Medikationsfehler

Aus diesen genannten Gründen habe die Politik in den letzten Jahren Maßnahmen ergriffen, besonders auf europäischer Ebene, um die Situation für die betroffenen Kinder und Jugendlichen zu verbessern.

- > **Paediatric Regulation:** Die Pädiatrische von 2007 verlangt von Pharmaunternehmen Studien zur Sicherheit und Wirksamkeit von Medikamenten bei Kindern.

- > **PIP (Paediatric Investigation Plans):** Unter der Pädiatrischen Arzneimittelverordnung sind Pharmaunternehmen verpflichtet, Pädiatrische Untersuchungspläne (PIPs), vorzulegen. Diese Pläne bieten eine detaillierte Darstellung davon, wie die Unternehmen die Sicherheit und Wirksamkeit ihrer Arzneimittel bei Kindern untersuchen möchten.
- > **PUMA (Paediatric Use Marketing Authorization,):** In der EU werden besondere Anreize für die Entwicklung von Medikamenten, die gezielt für Kinder bestimmt sind, geboten (PUMA). Unternehmen, die ein Medikament entwickeln, das ausschließlich für den Gebrauch bei Kindern vorgesehen ist, haben die Möglichkeit, von einer zusätzlichen Marktexklusivität von sechs Monaten zu profitieren.
- > **Netzwerke und Plattformen für pädiatrische Studien:** Die Europäische Union fördert die Etablierung von Netzwerken und Plattformen, die die Kooperation zwischen Forschungseinrichtungen, Pharmaunternehmen und Behörden stärken, um die Durchführung pädiatrischer klinischer Studien zu erleichtern.
- > **Pädiatrische klinische Studien-Datenbank (EU-Clinical-Trials-Register):** Die EU hat eine Datenbank für pädiatrische klinische Studien ins Leben gerufen, um sämtliche Informationen zu laufenden und abgeschlossenen Studien zugänglich zu machen und den uneingeschränkten Zugriff darauf zu erleichtern.

Leider würden die Ergebnisse aus den oben genannten Maßnahmen nicht den gewünschten Effekt erzielen. Dennoch stiege die Anzahl der klinischen Studien bei Kindern und Jugendlichen, was zu einer verbesserten Datengrundlage führe. Mit Blick auf PUMA hielt sie fest, dass bis 2022 lediglich sechs Arzneimittel diese Zulassung erhalten hätten. Trotz eines zehnjährigen Schutzes für Unterlagen und Vermarktung seien die wirtschaftlichen Anreize unzureichend, da die Möglichkeit eines Austauschs gegen preiswertere Medikamente mit demselben Wirkstoff bestehe; unterstützt durch die Aut-Idem-Regelung<sup>1</sup>. Die erneute frühe Nutzenbewertung nach PUMA stelle eine

---

<sup>1</sup> Aut-Idem-Regelung (lat. "oder das Gleiche"): Im Apothekenrecht ermöglicht die "Aut-idem"-Regelung Apotheker:innen, anstelle eines vom Arzt:Ärztin verordneten Arzneimittels ein anderes, wirkstoffgleiches Präparat abzugeben. Dies dient dazu, durch die Abgabe preisgünstiger, wirkstoffgleicher Arzneimittel bedeutende Einsparungen zu erzielen. Das ersetzende Präparat muss in Wirkungsstärke und Packungsgröße mit dem verordneten Arzneimittel identisch sein und für das gleiche Krankheitsbild zugelassen sein. Apotheker:innen sind verpflichtet, vorrangig Arzneimittel abzugeben, für die die Krankenkasse des Patient:innen einen Rabattvertrag mit Arzneimittelherstellern abgeschlossen hat, es sei denn, der Arzt schließt "aut idem" auf dem Rezept aus.

<https://www.bundesgesundheitsministerium.de/aut-idem-regelung>, 20.02.2024

zusätzliche Herausforderung dar. Pädiatrische Studien seien allein aufgrund ethischer Gründe und geringer Patient:innenanzahl oft schwer durchführbar. Kollidierende Auffassungen über den notwendigen Evidenzgrad für einen zusätzlichen Nutzen könnten dazu führen, dass in der Nutzenbewertung kein Zusatznutzen im Vergleich zur Standardtherapie nachgewiesen werde. Daraus resultierend bestehe die Möglichkeit, dass Unternehmen niedrigere Festbeträge für den Wirkstoff akzeptieren müssen. Ein Risiko, dem viele Hersteller ausweichen wollen.

Im Zeitraum von 2009 – 2019 konnte sich keine merkliche Verringerung der Off-Label-Nutzung zeigen. Am 26. April 2023 hat die EU-Kommission ihren Vorschlag zur Reform der EU-Pharma-Gesetzgebung veröffentlicht, welcher auch bedeutende Änderungen für Kinderarzneimittel und klinische Studien vorsieht. Dennoch blieben bei Martina Stamm-Fibich Zweifel, ob dies zu mehr Investitionen in der Entwicklung von Kinderarzneimitteln führen werde.

Abschließend unterstrich sie die Notwendigkeit Fortschritte zu erzielen, sowohl im Bereich klinischer Studien als auch in der Schaffung dezidierter Anreize für Kinderarzneimittel. So schlug sie als Möglichkeit vor, die Förderung von Arzneimitteln analog zur Orphan-Regelung zu gestalten und kindgerechte Darreichungsformen besser in die Nutzenbewertung einzubeziehen.



## *Klinische Studien aus Patient:innensicht: Was lief gut, was ginge besser?*

### Passend für die jungen Patient:innen – Herausforderungen und Lösungsansätze bei klinischen Studien

von Nicolas Lorente

*Nicolas Lorente ist Vater eines betroffenen Kindes einer SCNA2-bedingten Erkrankung und Ansprechpartner des Vereins SCNA2 Germany e.V. Er ist einer der drei Referent:innen der Veranstaltung, welcher aus der Patient:innensicht zu klinischen Studien an Kindern und Jugendlichen berichtet.*

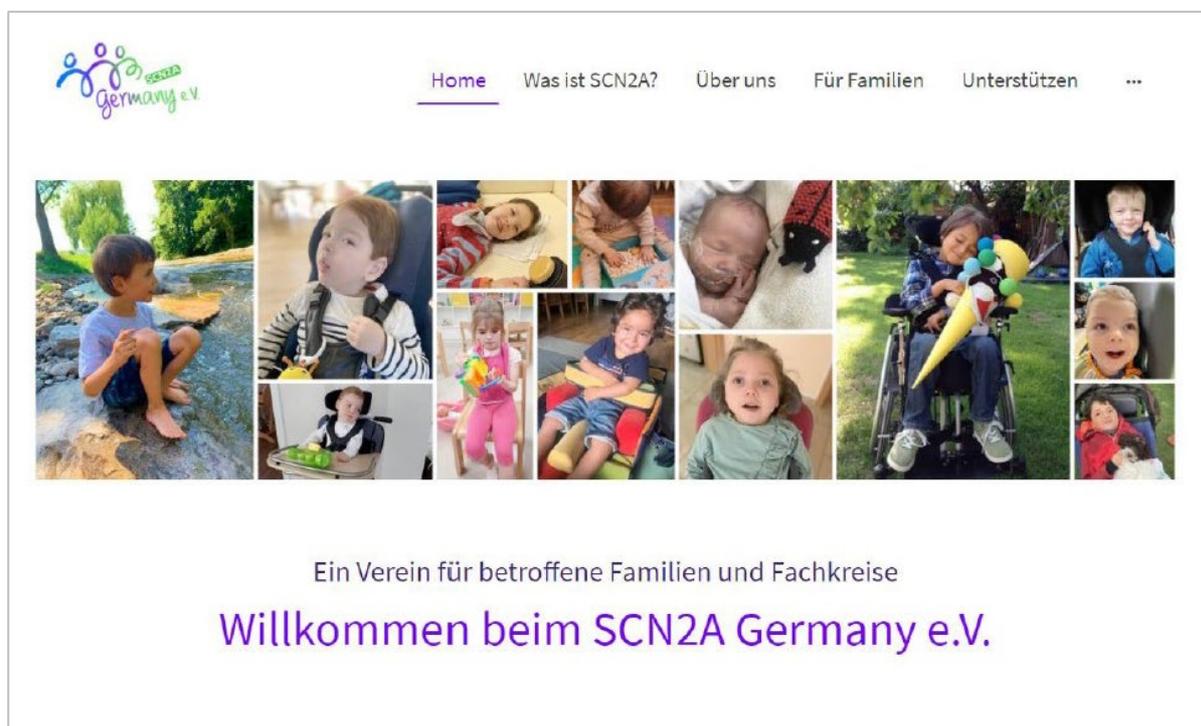


Abbildung 2 Nicolas Lorente: SCNA2 Germany e.V. Homepage

Mutationen im Gen SCNA2 können seltene Erkrankungen des Gehirns verursachen. Die genannten Mutationen treten entweder de novo auf oder werden von den Eltern vererbt. Dabei variiert die Ausprägung und Symptomatik von Person zu Person: So entwickeln manche betroffene Kinder Autismus, Epilepsie oder Entwicklungsverzögerungen.

Die SCNA2-Mutation und die damit verbundenen Erkrankungen wurden erst vor wenigen Jahren entdeckt, obwohl es mittlerweile einige Forschung dazu gibt. Aktuell werden ausschließlich Kinder und Jugendliche mit der Mutation diagnostiziert.

In Zusammenhang mit klinischen Studien verwies Nicolas Lorente auf die wichtige Arbeit von Selbsthilfegruppen, Vereinen und Stiftungen, die zur Förderung der Erforschung so seltener Krankheiten wie der SCNA2-Mutation beigetragen haben. Diese Bemühungen begannen in den USA, setzten sich in Australien fort und haben nun auch in Europa an Dynamik gewonnen. Trotz der geringen Zahl diagnostizierter Fälle würden die betroffenen Gruppen erheblichen Druck ausüben, um sicherzustellen, dass die Forschung weltweit vorangetrieben werde. Ihr gemeinsames Ziel ist es, das Verständnis seltener Krankheiten zu vertiefen und innovative Behandlungsmöglichkeiten zu entwickeln. Derzeit laufen zwei wichtige klinische Studien, die durch diese internationalen Kooperationen ermöglicht wurden. Diese Studien seien ein wichtiger Schritt im Kampf gegen seltene Krankheiten. Denn gerade hierdurch zeige sich, wie entscheidend die weltweite Zusammenarbeit sei, um Fortschritte in Forschung und Behandlung zu erzielen.

Nicolas Lorente markierte in seinem Vortrag, dass die Durchführung klinischer Studien zur Erforschung seltener Krankheiten weltweit leider vor erheblichen Herausforderungen stehe. Dies zeige sich vor allem mit der Rekrutierung von Patient:innen. Eine grundlegende Voraussetzung für klinische Studien ist das Vorhandensein diagnostizierter Fälle. Doch das Finden von geeigneten Patient:innen gestaltet sich oft als schwierig. In den USA beispielsweise gäbe es nicht ausreichend Kinder, um die Studien angemessen zu besetzen. Dies werfe die Frage auf, ob auch Patient:innen aus anderen Ländern einbezogen werden könnten und, falls ja, wie dies praktisch umgesetzt werden kann. Eine Hürde, die diesbezüglich zu bewältigen sei, wäre eine Reise der gesamten betroffenen Familie in die USA. Die Klärung der logistischen und rechtlichen Fragen sei hierbei nicht einfach. Besonders die rechtliche Dimension stelle ein Problem dar, denn jedes Land habe unterschiedliche Bestimmungen und Rechte in Bezug auf klinische Studien. Dies erschwere die länderübergreifende Rekrutierung von Patient:innen schließlich erheblich.

Um diesen Herausforderungen zu begegnen, schlug er folgende Maßnahmen vor:

- > verstärkte Diagnostik, um Dunkelziffer zu minimieren
- > eine verbesserte, länderübergreifende Vernetzung

- > Reduzierung bürokratischer Hürden
- > Kostenübernahme für Teilnehmer:innen
- > schnellere Entscheidungsprozesse
- > Abbau von Sprachbarrieren

Nicolas Lorente akzentuierte, dass nur durch gemeinsame Anstrengungen die genannten Hindernisse überwunden und Synergien genutzt werden können, um die Forschung zu seltenen Krankheiten und klinischen Studien für Kinder und Jugendliche voranzutreiben.

## *Aufnahme der jungen Patient:innen in der medizinischen Praxis?*

### Einbindung von Kindern und Jugendlichen in der medizinischen Praxis

von Dr. Anna Homann

*Dr. Anna Homann ist Fachärztin für Neurologie, Mutter eines Kindes mit einer SCN2A-bedingten Erkrankung und Gründungsmitglied des Vereins SCN2A Germany e.V. Durch ihre medizinische Expertise und ihre Sichtweise als betroffene Mutter, berichtete sie, wie die Einbindung von Kindern und Jugendlichen in der medizinischen Praxis erfolgt und auf welche Hindernisse die betroffenen Familien stoßen.*

Dr. Anna Homann zufolge seien aktuell etwa 8000 seltene Erkrankungen zu verzeichnen, davon 85% genetisch bedingt. Zudem ließen sich jährlich ca. 250 neue seltene Erkrankungen identifizieren. Mit Blick auf die Zahlen würden Schätzungen zufolge 4 Millionen Menschen in Deutschland mit einer seltenen Erkrankung leben: 75% davon betreffe die Gruppe der Kinder. So verwies sie darauf, dass diese Erkrankungen oft unterdiagnostiziert und der Weg zur Diagnose erschwert sei.

Eine besondere Schwierigkeit bestehe darin, dass viele seltene Krankheiten chronisch verlaufen würde, nicht heilbar seien und keine adäquaten Therapien zur Verfügung stehen. Von den identifizierten seltenen Erkrankungen könnten lediglich etwa 2 Prozent kausal behandelt werden, und es würden nur etwa 100 der sogenannten Orphan Drugs auf dem Markt existieren, die speziell für die Behandlung seltener Erkrankungen entwickelt wurden. Daraus resultierend ließen sich hohe gesundheitsökonomischen Kosten in den letzten Jahren verzeichnen. Die medikamentöse Versorgung von Kindern mit seltenen Erkrankungen stelle eine komplexe Herausforderung dar, die nicht nur durch die begrenzte Verfügbarkeit von Medikamenten, sondern auch durch diverse weitere Faktoren beeinflusst werde.

Der Erfolg von klinischen Studien, die darauf abzielen, neue Therapien für seltene Erkrankungen zu entwickeln, hänge maßgeblich von der Gewinnung von Patient:innen und Sponsoren ab. Die Rekrutierung ausreichender Teilnehmer:innen ist nicht nur aufgrund der geringen Patient:innenpopulation der Kinder und Jugendlichen schwierig, sondern auch aufgrund der finanziellen Kosten und gesundheitsökonomischen Belastungen. So machte Dr. Anna Homann deutlich, dass es von entscheidender Bedeutung sei, Anreize für Sponsoren zu schaffen, damit diese auch Studien für Kinder und Jugendliche unterstützen. Dabei müsse jedoch stets das ethische Gebot beachtet

werden, keinen Schaden für die Patient:innen zu verursachen. Die Abwägung von Nutzen und Risiko spiele hier eine zentrale Rolle.

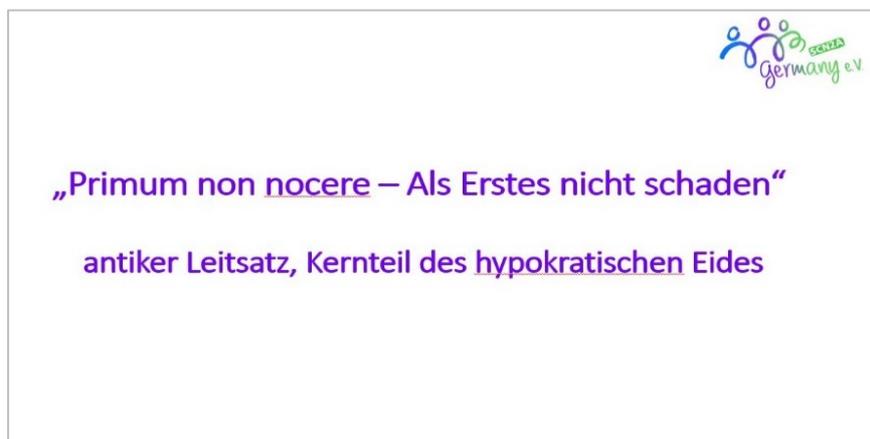


Abbildung 3 Dr. med. Anna Homann: Hypokratischer Eid

Angesichts dieser Problematik erscheine bei genetisch bedingten Erkrankungen und Stoffwechseldefekten Prävention als möglicher Lösungsansatz wenig erfolgversprechend. Vielmehr müsse der Fokus eben auf Forschung und klinischen Arzneimittelstudien liegen.

Im Gegensatz zu anderen Ländern wie den USA bestehe, laut Dr. Anna Homann, in Deutschland keine Meldepflicht für klinische Studien. Heidrun Hildebrand von Bayer merkte jedoch an, dass alle Studien, die deutschen Studien miteingeschlossen, EudraCT<sup>2</sup> gemeldet werden müssen. Dem fügte Dr. Bernd Sander hinzu, dass sich das PDCO (Päd. Komitee) bei der EMA für Kinderstudien verantwortlich fühle. Die Anmerkungen der Teilnehmenden der Veranstaltung unterstrichen die Notwendigkeit der Verbreitung solcher wichtigen Informationen für betroffene Familien. Als bestehende nationale und internationale Studienregister nannte Dr. Anna Homann in ihrem Vortrag das Deutsche Register Klinischer Studien<sup>3</sup> oder ClinicalTrials<sup>4</sup>. Dr. Monika Hermanns ergänzte als weiteres C4C (conect4children)<sup>5</sup>, welches ein großes kooperatives europäisches Netzwerk ist, das darauf abzielt, die Entwicklung neuer Medikamente und anderer Therapien für die gesamte pädiatrische Bevölkerung zu erleichtern. Als Teil dazu, gehört auch das GermanNetPaeT<sup>6</sup> an. Die Überprüfung von

<sup>2</sup> <https://eudract.ema.europa.eu/>

<sup>3</sup> <https://drks.de/search/de>

<sup>4</sup> [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

<sup>5</sup> <https://conect4children.org/>

<sup>6</sup> <https://www.germannetpaet.de/>

Ein- und Ausschlusskriterien sowie die sorgfältige Abwägung von Nutzen und Risiko seien dabei von zentraler Bedeutung.

Dr. Anna Homann führte in ihrem Vortrag die Vor- und Nachteile auf, die eine Teilnahme an klinischen Studien mit sich bringen würde: Als Vorteile nannte sie, dass Patient:innen Zugang zu bisher nicht zugelassenen Behandlungsmöglichkeiten mit potenziell geringeren Nebenwirkungen erhalten könnten. Dies gelte besonders für Erkrankungen, für die bisher keine Therapien existieren. Darüber hinaus ermögliche die Teilnahme den Zugang zu unterstützenden Angeboten und Gruppen, intensivere Betreuung sowie zusätzliche Überwachung und Untersuchungen. Dennoch müssen potenzielle Nachteile in Betracht gezogen werden, darunter unvorhersehbare Nebenwirkungen, möglicherweise geringere Wirksamkeit im Vergleich zu bestehenden Therapien und die Möglichkeit ein Scheinmedikament (Placebo) zu erhalten. Zusätzliche Belastungen wie regelmäßige Termine, Dokumentationen und möglicherweise weit entfernte Anreisen zum Studienzentrum sind ebenfalls zu berücksichtigen. Weiterbesondere Herausforderungen könnten sich durch Sprachbarrieren, insbesondere bei länderübergreifenden Studien, sowie durch das bereits vorhandene hohe Maß an Belastung für die Familie und den begleitenden lokalen Mediziner:innen ergeben. Als innovativer Lösungsansatz wurde von ihr die Einführung einer remote option für die Teilnahme an klinischen Studien genannt, um Reisebelastungen zu minimieren. Die Verfügbarkeit von allgemein verständlichem Informationsmaterial in verschiedenen Sprachen könnte die Frustration über Studienabläufe reduzieren. Zudem fördere die Einbindung von Patient:innenorganisationen und der Aufbau einer ausreichenden Patient:innenkohorte den Austausch unter Betroffenen und stärke die Geduld für offene Fragen im Verlauf der Studie.

Es sei von entscheidender Bedeutung, dass sich die Patient:innen nicht verloren fühlen und dass ihre Bedürfnisse und Herausforderungen angemessen berücksichtigt werden. Sie verwies darauf, dass Eltern sich nicht neben der Care-Arbeit zu politischen und sozialen Expert:innen entwickeln können und müssen. Daher sei es wichtig, die bürokratischen Hürden für die Teilnahme an klinischen Studien zu minimieren und gleichzeitig die notwendigen Schutzmaßnahmen zu gewährleisten. Die Weiterentwicklung in der Medikamentenforschung erfordere eine ganzheitliche Betrachtung, um innovative Lösungen für die medikamentöse Versorgung von Kindern mit seltenen Erkrankungen zu ermöglichen.

Insgesamt zeigte der Vortrag Dr. Anna Homanns, dass trotz der Komplexität und Herausforderungen, die seltene Erkrankungen mit sich bringen, Lösungsansätze in der Forschung und klinischen Praxis möglich sind. Eine verstärkte internationale Zusammenarbeit und die Schaffung von Anreizen für die Entwicklung therapeutischer Maßnahmen könnten den Weg zu einer verbesserten Versorgung und Lebensqualität für Kinder und Jugendliche mit seltenen Erkrankungen ebnen.

## *Einblicke forschender Pharma-Unternehmen*

### Herausforderungen bei klinischen Studien aus Sicht eines forschenden Pharma-Unternehmens

von Josefine Dobbertin-Welsch

*Josefine Dobbertin-Welsch, Global Clinical Development & Operations bei Boehringer Ingelheim Pharma GmbH & Co. KG, nahm auf der Veranstaltung Bezug auf Frau Homanns Vortrag und berichtete von den Herausforderungen der klinischen Studien in der Pädiatrie.*

Als eine Problematik in pädiatrischen Studien nannte Josefine Dobbertin-Welsch zum einen die große Altersspanne der Patient:innen als auch die großen biologischen Unterschiede der Untergruppen im Vergleich zu Erwachsenen. Medikamente würden folglich individuell und anders verstoffwechselt werden; je nach Physis und Alter. Der Aufwand für Familien, der bereits von Dr. Anna Homann in ihrem Vortrag thematisiert wurde, griff Josefine Dobbertin-Welsch auf. Dieser zeige sich in einer eingeschränkten Mobilität, denn bei der angesprochenen Gruppe handele es sich letztlich um Kinder und Jugendliche mit seltenen Erkrankungen. Auf Seiten der Sorgeberechtigten fänden Bedenken statt, welche die Sicherheit der Studien betreffe. Zudem kämen Sprach- oder Kulturbarrieren hinzu. Ein weiterer Punkt, der von ihr genannt wurde, sind die wenigen klinischen Studien für Kinder und Jugendliche. Zeitgleich sei der damit verbundene wirtschaftliche Aufwand sehr hoch, besonders mit Blick auf die sehr geringe Anzahl der Teilnehmer:innen dieser Populationsgruppe.

Jedoch ließen sich auch Fortschritte nennen, wie die 2007 eingeführte PIP, die den Blick auf die pädiatrische Populationsgruppe lenken würde und für eine Förderung der pädiatrischen Anwendung Sorge. Weitere Ziele der PIP seien die Verbesserung der Qualität der klinischen Forschung an Kindern und Jugendlichen, die Erhöhung der Anzahl der zugelassenen Medikamente in der Pädiatrie und die Optimierung der Datenlage über die Wirksamkeit und Sicherheit. Dennoch blieben weiterhin Faktoren, wie Off-

Label-Use oder Placebokontrollen, Herausforderungen für klinische Studien in der Pädiatrie.

Als einen möglichen Lösungsansatz hob Josefine Dobbertin-Welsch den Begriff der crossfunktionalen Zusammenarbeit hervor. Diese ermögliche einen kontinuierlichen Austausch von Informationen und Ideen zwischen verschiedenen Expert:innen aus Forschung, Industrie und Patient:innenorganisation und trüge dazu bei innovative Ansätze zu entwickeln und die Qualität der Forschung zu steigern. In ihrem Vortrag formulierte sie Lösungsansätze, die die Herausforderungen der klinischen Studien minimieren könnten.

Zusammenfassend betonte sie die Notwendigkeit der bedarfsorientierten Prüfung, das Fördern einer stärkeren Wahrnehmung klinischer Studien innerhalb der Bevölkerung als auch die bereits genannte crossfunktionale Zusammenarbeit.



## *Abschließende gemeinsame Diskussion*

### Lösungsvorschläge an die Politik

Die Online-Veranstaltung schloss mit der klaren Schlussfolgerung, dass nur durch gemeinsame Anstrengung, interdisziplinäre Zusammenarbeit und vor allem durch das Einbeziehen der betroffenen Familien langfristige Lösungsansätze in der Praxis gefunden werden können.

Die vorliegende Handreichung trägt die aktuellen Handlungsempfehlungen und Forderungen für die bestmögliche Versorgung von Kindern mit Arzneimitteln an dieser Stelle zusammen. Diese soll bei allen politischen Gesprächen mit Stakeholdern aus Politik und Gesundheit Diskussionsgrundlage bilden.

**Stärkere Einbindung der Familien:** Die betroffenen Familien sollen aktiv in den gesamten Prozess der klinischen Arzneimittelstudien einbezogen werden. Dazu gehört eine verbesserte Kommunikation über aktuelle Studien sowie die Schaffung von Mechanismen, um den Informationsfluss zwischen den Forschenden und den Familien zu erleichtern.

**Förderung und Unterstützung von klinischen Arzneimittelstudien:** Es sollten verstärkt Anreize geschaffen und finanzielle Mittel bereitgestellt werden, um die Durchführung von klinischen Arzneimittelstudien bei Kindern und Jugendlichen mit seltenen Erkrankungen oder Behinderungen zu fördern. Dies könnte durch gezielte Förderprogramme und finanzielle Anreize für Pharmaunternehmen erfolgen.

**Bewusstseinsbildung und Sensibilisierung:** Es sollten weiterhin Anstrengungen unternommen werden, um das Bewusstsein für die Bedürfnisse von Kindern mit seltenen Erkrankungen oder Behinderungen zu schärfen. Dies kann durch gezielte Aufklärungskampagnen und Schulungen für Gesundheitsdienstleister, Forschung und die breite Öffentlichkeit geschehen.

**Regulierung von Off-Label-Use:** Bestehende Regelungen zum Off-Label-Use von Medikamenten sollten überprüft und gegebenenfalls angepasst werden, um den häufigen Gebrauch von Medikamenten außerhalb ihrer zugelassenen Indikationen zu reduzieren und die Notwendigkeit von klinischen Arzneimittelstudien zu betonen.

**Förderung von multidisziplinärer Zusammenarbeit:** Die Entwicklung multidisziplinärer Ansätze sollte gefördert werden, die betroffene Familien und Expert:innen aus

verschiedenen Fachgebieten zusammenbringen. Dies könnte durch die Schaffung von Netzwerken und Plattformen zur Zusammenarbeit sowie die Unterstützung von interdisziplinären Forschungsprojekten geschehen.

## Weitergehende Fragen?

## Nehmen Sie Kontakt auf zu den Referent:innen

Kindernetzwerk e.V.  
Schiffbauerdamm 19  
10117 Berlin  
Telefon 030-25765960  
Fax 06021-12446  
E-Mail: [info@kindernetzwerk.de](mailto:info@kindernetzwerk.de)  
Internet: <https://www.kindernetzwerk.de/>  
**Facebook: kindernetzwerkev**  
<https://www.facebook.com/kindernetzwerkev>  
**LinkedIn: Kindernetzwerk e.V.**  
<https://de.linkedin.com/company/kindernetzwerk>  
**Instagram: kindernetzwerk\_ev**  
[https://www.instagram.com/kindernetzwerk\\_ev](https://www.instagram.com/kindernetzwerk_ev)  
**YouTube: Kindernetzwerk**  
<https://www.youtube.com/channel/UC3IS2JT1p1ntUVJR7IvJpHg>  
[unrare.me](https://www.unrare.me)  
<https://www.unrare.me/>

Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V.  
Dr. Thorsten Ruppert  
Hausvogteiplatz 13  
10117 Berlin  
Telefon: 030-206040  
Fax: 030-20604222  
E-Mail: [info@vfa.de](mailto:info@vfa.de)  
Internet: [www.vfa.de](http://www.vfa.de)

MdB Martina Stamm-Fibich  
Platz der Republik 1  
11011 Berlin  
Telefon: 030-22777422  
E-Mail: [martina.stamm-fibich@bundestag.de](mailto:martina.stamm-fibich@bundestag.de)  
MdB Dr. Georg Kippels  
Platz der Republik 1  
11011 Berlin  
Telefon: 030-22775245  
E-Mail: [georg.kippels@bundestag.de](mailto:georg.kippels@bundestag.de)

SCN2A Germany e.V.  
**Anna Homann & Nicolas Lorente**  
Hochdahler Str. 100  
40724 Hilden  
Telefon: 0162-7795018  
E-Mail: [info@scn2a.de](mailto:info@scn2a.de)

Epilepsie Empowerment Deutschland e.V.  
Paula Bach  
Kaiserstraße 217  
76133 Karlsruhe  
E-Mail: info@epipower.de  
Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke e.V. (DGM)  
Léon Moreira Prudencio Rörig  
Prendener Str.30  
13059 Berlin  
Telefon: 030-91530056  
Fax: 030-92371204  
E-Mail: leon.roerig@dgm.org

Boehringer Ingelheim  
Josefine Dobbertin-Welsch  
Binger Strasse 173  
55216 Ingelheim am Rhein  
Telefon: +49 - 6132 - 77  
E-Mail: josefine.dobbertin-welsch@boehringer-ingelheim.com  
Website: <https://www.boehringer-ingelheim.com/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.

Benzstraße 2

63741 Aschaffenburg

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: Yeliz Kidis

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 2024

Kindernetzwerk e.V.

Stand

Januar 2024