Monatsschr Kinderheilkd 2021 · 169:271
<https://doi.org/10.1007/s00112-020-01061-0>
 Online publiziert: 20. November 2020
 © Springer Medizin Verlag GmbH, ein Teil von
 Springer Nature 2020

Redaktion

G. Hansen, Hannover
 R. Kerbl, Leoben
 F. Zepp, Mainz

Erwiderung

Radke M (2020) Entscheidungskompetenz für den Einsatz hochspezieseller Medikamente – eine Befugnis der Fachleute. Monatsschr Kinderheilkd 168. <https://doi.org/10.1007/s00112-020-01060-1>

Originalbeitrag

Hansmann G, Apitz C, Humpl T et al. (2020) Dringende Notwendigkeit des Off-label-Einsatzes von PAH-Medikamenten und deren Erstattung bei Kindern mit pulmonaler Hypertonie (Lungenhochdruck). Monatsschr Kinderheilkd 168:733–738. <https://doi.org/10.1007/s00112-020-00924-w>
 und
 Rascher W (2020) Off-label-Anwendung – Wie kommen wir zur Evidenz? Monatsschr Kinderheilkd 168: 731–732. <https://doi.org/10.1007/s00112-020-00925-9>.

Zunächst danke ich Herrn Radke für die Ausführungen, die ich gern kommentieren möchte.

Das im Editorial eingeforderte Engagement von Kinder- und Jugendärzten sollte nicht als Kritik, sondern als Aufforderung aufgefasst werden, da ohne Daten aus klinischen Studien keine Evidenz generiert werden kann. Die genannten Beispiele von Infliximab und Vedolizumab zeigen die Schwierigkeiten auf, gegen die engagierte Kinder- und Jugendärzte kämpfen müssen. Im Jahr 2005 war der pharmazeutische Unternehmer gegen eine Beteiligung der deutscher Kindergastroenterologen an den klinischen Studien. Im Jahr 2014, also

W. Rascher

Kinder- und Jugendklinik, FAU Erlangen-Nürnberg, Erlangen, Deutschland

Fehlender Handlungsspielraum und mangelhafte Strukturen

Aufforderung zur Überwindung der Hindernisse für klinische Studien mit Kindern

7 Jahre nach Inkrafttreten der EU-Kinderarzneimittelverordnung, die die Teilhabe der Kinder am wissenschaftlichen Fortschritt in der Arzneimitteltherapie gesetzlich zu regeln beabsichtigte, hatte der pharmazeutische Unternehmer zwar einen pädiatrischen Untersuchungsplan aufgestellt, sonst wäre die Zulassung am 22.05.2014 nicht erteilt worden. Leider haben sich, wie so oft, die Studien zur Zulassung bei Kindern und Jugendlichen erheblich verzögert, da die Kinderstudien oft weit hinter den Studien bei Erwachsenen vorgenommen werden („deferral“). Der aktualisierte pädiatrische Prüfplan für Vedolizumab wurde erst 2018 veröffentlicht, und die Studien sollen im Februar 2022 abgeschlossen sein [1].

Herr Radke stellt richtigerweise fest, dass trotz der gesetzlichen Verpflichtung der Handlungsspielraum für Kinderstudien begrenzt und nicht im Interesse der Kinder ist. Denn die Kinderstudien kommen zu spät. Deswegen besteht die Notwendigkeit, neue, vielversprechende Therapieoptionen zulassungsüberschreitend einzusetzen. Das hat auch die EU erkannt und will die Defizite aus der EU-Kinderarzneimittelverordnung nachbessern [2].

Aber auch die Struktur für klinischen Studien mit Kindern muss in Deutschland verbessert werden, wie Herr Radke zu Recht fordert. Hier ist die Politik gefragt, und die Deutsche Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin (DGKJ) sollte darauf drängen, dass Studienzentren nachhaltig finanziert werden, vielleicht in Rahmen des künftigen Deutschen Zentrum für Kinder- und Jugend-

gesundheit. Das wäre ein großer Schritt in die richtige Richtung für die kranken Kinder.

Korrespondenzadresse

Prof. Dr. Dr. h.c. W. Rascher

Kinder- und Jugendklinik, FAU Erlangen-Nürnberg
 Loschgestr. 15, 91054 Erlangen, Deutschland
wolfgang.rascher@uk-erlangen.de

Interessenkonflikt. W. Rascher gibt an, dass kein Interessenkonflikt besteht.

Literatur

1. EMA Opinion of the Paediatric Committee on the acceptance of a modification of an agreed Paediatric Investigation Plan. https://www.ema.europa.eu/en/documents/pip-decision/p/0109/2018-ema-decision-11-april-2018-acceptance-modification-agreed-paediatric-investigation-plan_en.pdf. Zugriffen: 14. Okt. 2020
2. EMA 10-year Report to the European Commission General report on the experience acquired as a result of the application of the Paediatric Regulation. https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/paediatrics/docs/paediatrics_10_years_ema_technical_report.pdf. Zugriffen: 14. Okt. 2020