

Monatsschr Kinderheilkd  
<https://doi.org/10.1007/s00112-023-01856-x>  
 Eingegangen: 14. März 2023  
 Angenommen: 24. August 2023

© The Author(s) 2023

**Redaktion**

Berthold Koletzko, München  
 Thomas Lücke, Bochum  
 Ertan Mayatepek, Düsseldorf  
 Ute Spiekercötter, Freiburg  
 Norbert Wagner, Aachen  
 Stefan Wirth, Wuppertal



# Lebensqualität von kleinwüchsigen Kindern und Jugendlichen und Wachstumshormontherapie

Julia Hannah Quitmann<sup>1</sup> · Gerhard Binder<sup>2</sup> · Stefanie Witt<sup>3</sup> · Monika Bullinger<sup>3</sup> ·  
 Janika Blömeke<sup>4</sup> · Susanne Fricke-Otto<sup>5</sup> · Berthold Hauffa<sup>6</sup> · Sabine Kahrs<sup>7</sup> ·  
 Carl-Joachim Partsch<sup>8</sup> · Anja Rohenkohl<sup>9</sup> · Helmuth-Günther Dörr<sup>10</sup>

<sup>1</sup> Fakultät Wirtschaft und Soziales, Hochschule für Angewandte Wissenschaften (HAW), Hamburg, Deutschland; <sup>2</sup> Klinik für Kinder- und Jugendmedizin, Kinderheilkunde I, Pädiatrische Endokrinologie, Universitätsklinikum Tübingen, Tübingen, Deutschland; <sup>3</sup> Institut und Poliklinik für Medizinische Psychologie, Zentrum für Psychosoziale Medizin, Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf, Hamburg, Deutschland; <sup>4</sup> OptiMedis AG, Hamburg, Deutschland; <sup>5</sup> Pädiatrische Endokrinologie und Diabetes, Helios-Klinikum Krefeld, Krefeld, Deutschland; <sup>6</sup> Pädiatrische Endokrinologie und Diabetologie, Kinderklinik II, Universitätsklinikum Essen, Essen, Deutschland; <sup>7</sup> Beratungsstelle für Kinder, Jugendliche und Familien (Erziehungsberatungsstelle), Bremen, Deutschland; <sup>8</sup> MVZ Endokrinologikum Hamburg, Hamburg, Deutschland; <sup>9</sup> Klinik für Psychiatrie, Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf, Hamburg, Deutschland; <sup>10</sup> Kinder- und Jugendklinik, Universitätsklinikum Erlangen, Erlangen, Deutschland

## Zusammenfassung

**Hintergrund:** Wachstumsstörungen können psychosoziale und physische Folgen für die betroffenen Kinder, Jugendlichen und ihre Familien haben.

**Fragestellung:** Wie wirken sich Wachstumsstörungen und deren Behandlung mit Wachstumshormonen („human growth hormone“, hGH) auf die Lebensqualität von Kindern und Jugendlichen im Kontext von idiopathischem Wachstumshormonmangel („idiopathic growth hormone deficiency“, IGHD), idiopathischem Kleinwuchs („idiopathic short stature“, ISS), Turner-Syndrom (TS), „Small-for-gestational-age“ (SGA)-Kleinwuchs und Prader-Willi-Syndrom (PWS) aus?

**Material und Methoden:** Ergebnisse eines multiprofessionellen Arbeitstreffens mit aktueller Literaturrecherche.

**Ergebnisse:** In Deutschland ist eine hGH-Therapie nicht für alle Indikationen gegeben. Die Lebensqualität von Kindern und Jugendlichen mit Wachstumsstörungen und deren Eltern ist häufig beeinträchtigt, aber nicht zwangsweise. Kinder und Jugendliche mit ISS berichten oftmals eine normale bzw. höhere Lebensqualität als normalwüchsige Peers. Ebenso weisen Kinder mit PWS eine mit Peers vergleichbare Lebensqualität auf, während Kinder mit IGHD eine eingeschränkte Lebensqualität berichten und auch Mädchen mit TS negative Auswirkungen der körperlichen Besonderheiten auf das Selbstwertgefühl und das Sozialleben berichten. Die Zusammenhänge von hGH-Therapie und Lebensqualität weisen inkonsistente Ergebnisse auf; Studien berichten sowohl von einer unveränderten Lebensqualität (TS, IGHD) als auch von einer Verbesserung (IGHD, SGA, PWS).

**Diskussion:** Pädiatrische Wachstumsstörungen haben z. T. psychosoziale und physische Folgen. Studien zeigen jedoch inkonsistente Forschungsergebnisse. Bei der Beurteilung der Lebensqualität spielen neben der Körperhöhe noch weitere Faktoren eine wichtige Rolle, wie z. B. der familiäre Umgang mit der Erkrankung.

**Schlüsselwörter**

Kindliches Wohlbefinden · Elterliche Belastungen · Psychosoziale Folgen · Behandlungslast



QR-Code scannen & Beitrag online lesen

Wachstum gilt als wichtiger Indikator für die Gesundheit bzw. Krankheit von Kindern und Jugendlichen. Kleinwuchs, definiert als Körperhöhe unterhalb der 3. Perzentile, kann viele Ursachen haben. Eine eindeutige Indikation für eine Therapie mit Wachstumshormon („human growth hormone“, hGH) ist nur bei nachgewiesenem Wachstumshormon („Growth-hormone“ [GH])-Mangel gegeben. Dieser Beitrag beschreibt den Einfluss pädiatrischer Wachstumsstörungen auf die gesundheitsbezogene Lebensqualität von betroffenen Kindern, Jugendlichen und deren Eltern sowie die Rolle der hGH-Therapie für die Lebensqualität.

### Kleinwuchs und Lebensqualität

Kleinwuchs wird definiert als Körperhöhe unterhalb der 3. Perzentile und kann viele Ursachen haben. Eine Indikation für eine Therapie mit Wachstumshormon („human growth hormone“, hGH) ist neben einem nachgewiesenen Wachstumshormon („Growth-hormone“ [GH])-Mangel auch bei anderen Indikationen wie beispielsweise dem Turner- und Prader-Willi-Syndrom gegeben. Im Folgenden werden idiopathischer Wachstumshormonmangel („idiopathic growth hormone deficiency“, IGHD), idiopathischer Kleinwuchs („idiopathic short stature“, ISS), Turner-Syndrom (TS), „Small-for-gestational-age“ (SGA)-Kleinwuchs und das Prader-Willi-Syndrom (PWS) näher dargestellt.

Lebensqualität ist ein multidimensionales Konstrukt, das körperliche, psychische und soziale Komponenten des Wohlbefindens und der Funktionsfähigkeit aus der subjektiven Sicht der Betroffenen enthält. Unterschieden wird die allgemeine von der gesundheitsbezogenen Lebensqualität („health-related quality of life“, HRQoL), die nur Faktoren umfasst, die Teil der Gesundheit eines Individuums sind [53].

Neben verschiedenen generischen Instrumenten zur Erfassung der HRQoL liegt mit dem Quality of Life in Short Stature Youth (QoLISSY) ein kleinwuchsspezifischer Fragebogen vor, der für Kinder und Jugendliche mit IGHD, SGA, ISS und Achondroplasie validiert ist [8, 11].

Die Studienlage zum Einfluss von Wachstumsstörungen auf die HRQoL ist

inkonsistent, und nur wenige Arbeiten beschreiben den Einfluss der Körpergröße auf die HRQoL [3].

### HRQoL bei ausgewählten Wachstumsstörungen

#### Idiopathischer Kleinwuchs

##### Definition und klinische Probleme.

ISS umschreibt eine heterogene Patient:innengruppe ohne eine bekannte Ursache des Kleinwuchses. Es handelt sich um eine Diagnose, die eine komplexe diagnostische Abklärung, einschließlich Tests zum Ausschluss eines GH-Mangels und ggf. eine genetische Untersuchung zum Ausschluss seltener Ursachen, erfordert. Je nach Definition und Quelle wird auch der familiäre Kleinwuchs dem zugeordnet, wobei die Körperhöhe im Erwachsenenalter in der Regel dem familiären Zielgrößenbereich entspricht [17].

##### Psychische Aspekte und Lebensqualität.

Bei Kindern und Jugendlichen mit ISS können psychische Probleme auftreten. Als Risikofaktoren gelten soziale Unreife, Infantilisierung, geringes Selbstwertgefühl, Mobbing, die Einstellung der Eltern, kulturelle Aspekte und häufige Stresserfahrung [49]. Betroffenen und deren Eltern sollten psychosoziale Unterstützungsmöglichkeiten, die besonderes Augenmerk auf Bewältigungsstrategien im Alltag legen, angeboten werden. Berichte über die Lebensqualität bei Kindern mit ISS sind inkonsistent. In einer prospektiven deutschen Multizenterstudie, in welcher die Lebensqualität von Kindern vor Beginn und 12 Monate nach Beginn einer hGH-Therapie erhoben wurde, bewerteten unbehandelte Kinder mit ISS und deren Eltern die krankheitsspezifische HRQoL signifikant höher, verglichen mit hGH-behandelten Kindern mit IGHD oder SGA-Kleinwuchs [38]. In anderen Studien weisen Kinder mit ISS eine schlechtere krankheitsspezifische HRQoL auf [20].

**hGH-Therapie.** Die Therapie mit hGH ist u. a. in den USA seit 2003 zugelassen, nicht jedoch in Europa. Die Endgröße nimmt bei einer mittleren Behandlungsdauer von 4 bis 7 Jahren durch eine hGH-Therapie um durchschnittlich 3,5–7 cm zu [17]. Die

Ergebnisse einer Vergleichsstudie wiesen auf eine bessere HRQoL bei Behandlung mit wachstumsfördernden Therapien hin [8].

#### Idiopathischer GH-Mangel

##### Definition und klinische Probleme.

Beim IGHD ist Kleinwuchs durch einen isolierten oder kombinierten GH-Mangel bedingt. Charakteristisch für IGHD sind eine Wachstumsgeschwindigkeit unter der 25. Perzentile und Hinweise auf eine Retardierung des Knochenalters [19]. Bei einem insulinähnlichen Wachstumsfaktor 1 (IGF-1) und IGF-Bindungsprotein 3  $< -2$  Standardabweichungen (SD) ist eine Störung wahrscheinlich, bei  $< -1$  SD möglich. Die Abklärung erfolgt in der Regel mit zwei GH-Stimulationstests [19], alternativ kann ein GH-Sekretionsprofil erhoben werden. Ohne hGH-Therapie erreichen Betroffene eine mittlere finale Körperhöhe von  $-4,7$  SD unter dem Populationsmittel [52].

##### Psychische Aspekte und Lebensqualität.

Patient:innen mit idiopathischem GH-Mangel weisen gegenüber Normalwüchsigen eine eingeschränkte HRQoL auf, insbesondere in sozialen und emotionalen Aspekten [12]. Das subjektive Erleben der Krankheitslast durch Eltern und Kinder ist variabel [10]. Die HRQoL der Eltern hat Einfluss auf die Beurteilung der kindlichen HRQoL [9]. Umgekehrt wirken sich Sorgen um das Wohlergehen des Kindes auf die psychische Gesundheit der Eltern aus [18]. Psychische Belastungen werden unterschiedlich wahrgenommen: Eltern sind meist über die Diagnosestellung erleichtert, Jungen und auch deren Eltern sorgen sich häufiger um ihr Wachstum, während Mädchen eher Frustrationen und Verletzungsgefühle berichten [37, 44].

**hGH-Therapie.** Mit einer hGH-Therapie lässt sich ein Körperhöhengewinn von ca. 8–12 cm (1,5–2 SD) erzielen, in Einzelfällen bis zu 3,5 SD [40]. Die Studienergebnisse zu Veränderungen der HRQoL nach einem Jahr hGH-Therapie zeigen – ggf. auch aufgrund der kurzen Therapiezeit – diskrepante Ergebnisse. So berichten Kinder und Jugendliche eine Verbesserung emotionaler und sozialer Aspekte [22] bzw. einen Zuwachs der

HRQoL sowohl aus Sicht der Betroffenen als auch aus Elternsicht. Die Zunahme der Körpergröße war mit einer höheren Gesamt-HRQoL verbunden, während sich die Belastung der Eltern durch die Erkrankung nicht veränderte [22, 38]. Eine andere Studie kommt zu dem Ergebnis, dass eine hGH-Therapie nicht mit einem signifikanten Zuwachs der HRQoL assoziiert ist [12].

## Turner-Syndrom

### Definition und klinische Probleme.

Kennzeichen des TS sind ein partieller oder kompletter Verlust eines Sexchromosoms und ggf. konsekutive epigenetische Störungen auf allen Chromosomen [45]. Klinisch imponiert die Trias aus Kleinwuchs, Hypogonadismus und sog. Major-/Minoranomalien. Der klinische Phänotyp zeigt eine hohe Variabilität, auch mit stigmatisierenden Veränderungen und Teilleistungsbeeinträchtigungen [23]. Ferner sind kardiale Probleme und die mit 10 Jahren zunehmende Gewichtsproblematik zu nennen. Ohne Behandlung erreichen die Patient:innen eine Körperhöhe im Erwachsenenalter von ca. 145 cm [35].

**Psychische Aspekte und Lebensqualität.** Körperliche Besonderheiten können sich auf das Selbstwertgefühl und Sozialleben der Kinder und Jugendlichen auswirken. Weitere Einflussfaktoren auf die Lebensqualität sind die häufigen Hörstörungen und ein verspäteter, meistens medikamentös induzierter Pubertätseintritt [14]; die Probleme beeinträchtigen Betroffene körperlich, emotional und sozial. Es liegen kaum Studien zur Lebensqualität von Kindern und Jugendlichen mit TS vor. Für Erwachsene besteht eine unklare Evidenz, einige Studien berichten von einer scheinbar verminderten [1, 2, 31, 39, 46], andere von einer unveränderten Lebensqualität [14, 29].

**hGH-Therapie.** Die hGH Therapie für Patient:innen mit TS ist seit 1991 in Deutschland zugelassen. Eine hGH-Therapie über 5,5 bis 7,6 Jahre ging in den nordamerikanischen Zulassungsstudien mit einem Körperhöhenzugewinn von 5–8 cm einher [23]. Bei Patientinnen mit TS ist kein unmit-

telbarer Effekt der Körperhöhe oder hGH-Therapie auf die HRQoL festzustellen [29]. In einer prospektiven kontrollierten Studie war ein positiver Kurzeiteffekt, der aber den Veränderungen unbehandelter Kontrollpersonen entsprach, zu verzeichnen [12], wobei hier auch ein oft verspäteter Therapiebeginn durch verspätete Diagnosestellung die nichtzufriedenstellende Größenentwicklung und somit die LQ beeinträchtigen.

## Small-for-gestational-age-Kleinwuchs

**Definition und klinische Probleme.** Bei einem SGA-Neugeborenen liegen Geburtsgewicht und/oder Geburtslänge  $< -2$  SD unterhalb des Mittelwerts für das jeweilige Gestationsalter [7]. Die Inzidenz liegt bei 5,5% aller Neugeborenen [27]. Die Ursachen sind vielfältig und umfassen mütterliche, plazentare oder fetale Faktoren. Bei ca. 40% der Betroffenen kann keine Ursache identifiziert werden. Das postnatale Längenwachstum von SGA-Kindern ist durch ein spezifisches Wachstumsprofil charakterisiert. Circa 85–90% der Betroffenen holen das Wachstum postnatal in den ersten Lebensjahren auf [27]. Kinder ohne Aufholwachstum sind mit 4 Jahren kleinwüchsig. Die Wachstumsverzögerung wird nicht mehr ausgeglichen, die Kinder und späteren Erwachsenen erreichen ihre genetische Zielgröße nicht. Viele syndromale Erkrankungen können mit einem niedrigen Geburtsgewicht/einer niedrigen Geburtslänge assoziiert sein. Bei kleinwüchsigen SGA-Kindern ist es daher notwendig, dass der SGA-Kleinwuchs im Alter von 4 Jahren genau abgeklärt wird. So sollte z. B. bei Vorliegen eines disproportionierten Kleinwuchses und/oder von Dysmorphiezeichen eine radiologische und/oder genetische Labordiagnostik erfolgen. Beim SGA-Kleinwuchs ist eine Zuordnung zu einer distinkten medizinischen Diagnose, z. B. einer spezifischen syndromalen Erkrankung, einer Endokrinopathie oder einer Skelettdysplasie nicht möglich.

Ist die Diagnose SGA bestätigt, bzw. wurden andere Ursachen für den Kleinwuchs ausgeschlossen, dann kann unter bestimmten Voraussetzungen eine Behandlung mit hGH durchgeführt werden.

**Psychische Aspekte und Lebensqualität.** Die körperlichen Aspekte von SGA mit teils jüngerem Aussehen der Patient:innen können zu Infantilisierung, Diskriminierung und Stigmatisierung führen [50]. Studien zeigen, dass kleinwüchsige SGA-Kinder und Jugendliche häufig Stigmatisierungen ausgesetzt sind. Die Unterschiede in der Körpergröße werden mit verminderter sozialer Kompetenz und Integration sowie schlechterer schulischer Entwicklung in Verbindung gebracht [41].

**hGH-Therapie.** Seit 2003 ist die hGH-Therapie für SGA-Kleinwuchs in Deutschland zugelassen. Sie ist sehr effektiv, induziert Aufholwachstum und normalisiert die Endgröße. Der Zugewinn an Körperhöhe beträgt ca. 7–10 cm [24]. Kurzfristig zeigt die Therapie positive Effekte bezüglich sozialer Akzeptanz und Selbstwertgefühl, nicht jedoch bezüglich Intelligenz, Kognition und Verhalten [30, 47]. Parallel zur Zunahme der Größenentwicklung nimmt langfristig die HrQoL zu; ebenso sind eine bessere Selbstwahrnehmung und bessere Verhaltensscores zu beobachten [6, 48].

## Prader-Willi-Syndrom

### Definition und klinische Probleme.

Beim PWS handelt es sich um eine Multisystemerkrankung mit hypothalamischen Funktionsstörungen, die u. a. mit psychomotorischer Entwicklungsverzögerung, geistiger Retardierung, Verhaltensauffälligkeiten, massiver Adipositasentwicklung durch Hyperphagie und Kleinwuchs im Erwachsenenalter einhergeht. Ursache ist die fehlende Aktivität paternalen Chromosomenmaterials der Region q11–q13 auf Chromosom 15 [16]. Die GH-Freisetzung ist vermindert, IGF-1 niedrig oder niedrig-normal [21]. Die Geburtsprävalenz in Europa liegt bei 3,1:100.000 [36]. Hauptproblem für betroffene Familien ist die Kontrolle der Hyperphagie [25].

**Psychische Aspekte und Lebensqualität.** Das PWS ist mit einer hohen Krankheitslast verbunden [28]. Studien zeigen jedoch keine per se schlechtere HRQoL der Betroffenen [13]. Weder im Vergleich mit gesunden Peers noch im Vergleich mit chronisch-kranken oder kleinwüchsigen Kindern wurden Unterschiede in der

HRQoL aus Sicht der Betroffenen berichtet [13, 51]. Studien zeigen zudem eine große Diskrepanz zwischen den Selbstberichten der pädiatrischen PWS-Patient:innen und deren Eltern, wobei Eltern eine signifikant geringe HRQoL ihrer Kinder berichten [5, 51]. Eine Erklärung für diese Diskrepanz und den unauffälligen Vergleich zu gesunden Peers und anderen kleinwüchsigen Patienten könnte jedoch ggf. darin begründet sein, dass PWS-Patient:innen die Tragweite ihres Andersseins meist nicht erfassen.

Betroffene Patient:innen weisen oft eine geringere soziale Kompetenz auf. Im Erwachsenenalter weisen Betroffene einen signifikant schlechteren Gesundheitszustand auf als die Allgemeinbevölkerung [32]. Die HRQoL von Eltern und Betreuenden ist vermindert, v. a. von Kindern mit einem PWS aufgrund einer uniparentalen maternalen Disomie [26].

**hGH-Therapie.** Die hGH Therapie ist in Deutschland seit 2000 zugelassen. Primär besteht eine metabolische Indikation zur hGH-Therapie. hGH kann dem natürlichen Verlauf der Adipositas entgegenwirken und bessert die Körperhöhe [4, 15, 43]. Zudem ist eine Besserung von Körperkraft, Beweglichkeit, motorischer Entwicklung und evtl. kognitiven Fähigkeiten zu verzeichnen [33, 34, 42]. In einer Studie berichteten Betroffene von einem Anstieg der HRQoL bezüglich der körperlichen und sozialen Funktion, Eltern von einer Besserung der physischen und emotionalen Funktionen; langfristig war jedoch nur eine bessere physische Funktion im Elternbericht zu verzeichnen [5]. Eltern von älteren Kindern berichten über eine niedrigere HRQoL, während im Selbstbericht keine altersbezogenen Effekte zu beobachten waren [5].

### Ganzheitliche Versorgung im Fokus

Die Ursachen von Wachstumsstörungen bei Kindern sind vielfältig. Die Diagnostik ist nicht trivial und erfordert eine hohe medizinische Kompetenz. Nur bei wenigen Indikationen kann eine Therapie mit hGH zur Verbesserung der Körpergröße erfolgen. Die Therapieoptionen sollten mit den Betroffenen und Eltern ausführ-

lich und verständlich besprochen werden. Fragen nach der Effektivität und Sicherheit der hGH-Therapie stehen dabei im Vordergrund, während Fragen zur HRQoL der Kinder oft nicht angesprochen werden. Die Therapie sollte die HRQoL der kleinwüchsigen Kinder und Jugendlichen sowie die der Eltern und Geschwister positiv beeinflussen. Bei der Betreuung sind ein empathischer Umgang, individuelle Betrachtungen und Mitgefühl wichtig. Zur wissenschaftlich fundierten Überprüfung der patient:innenbezogenen Lebensqualität und der Einbindung der Ergebnisse in Therapien oder Beratungen ist der frühzeitige Einsatz generischer und krankheitsspezifischer Instrumente zur Erfassung der HRQoL und somit der verschiedenen Belastungsfacetten der einzelnen Erkrankungen zu empfehlen. Diagnoseübergreifende Fragestellungen betreffen u. a. die Diagnosestellung, Entwicklung, Familiendynamik, außerfamiliäre Betreuung, Geschwisterbetreuung, Zukunftsperspektiven, Sexualität und Transition.

Psychoziale Begleitung und fachspezifische Beratung mit Fokus auf Behandlungszufriedenheit sind im Rahmen der hGH-Therapie unabdingbar. Bei einem nicht mit hGH behandelbaren Kind ist es wichtig, den Eltern zu signalisieren, dass ihr Kind bei adäquater Kommunikation den Selbstwert stabilisieren kann. Nicht zuletzt ist Körperhöhe nicht der einzige Faktor für eine gute HRQoL – auch Vitalität oder erworbene Kompetenzen tragen zu einer hohen HRQoL bei.

#### Fazit für die Praxis

- Die HRQoL von Kindern und Jugendlichen mit Wachstumsstörungen sowie deren Eltern, Betreuenden und Geschwistern kann eingeschränkt sein. Ergebnisse von Studien zur HRQoL von Betroffenen und zum Einfluss einer hGH-Therapie sind, ggf. aufgrund kleiner Fallzahlen und unterschiedlicher methodischer Vorgehensweisen, teilweise inkonsistent.
- Der Bedarf an Forschung zur HRQoL ist hoch. Teilweise fehlen krankheitsspezifische Instrumente.
- Wesentlich sind patient:innenorientierte bzw. familienorientierte Beratungs- und Therapieangebote. Psychosoziale Interventionen sollten sich flexibel an den Bedarf der Familien anpassen.

#### Korrespondenzadresse

**Prof. Dr. phil. Dipl.-Psych.  
Julia Hannah Quitmann**

Fakultät Wirtschaft und Soziales, Hochschule für Angewandte Wissenschaften (HAW)  
Alexanderstr. 1, 20099 Hamburg, Deutschland  
julia.quitmann@haw-hamburg.de

**Funding.** Open Access funding enabled and organized by Projekt DEAL.

#### Einhaltung ethischer Richtlinien

**Interessenkonflikt.** J.H. Quitmann gibt folgende Interessenserklärung ab. *Zeitlich unbegrenzt:* Jegliche Unterstützung für das vorliegende Manuskript (z. B. Finanzierung, Bereitstellung von Studienmaterialien, medizinisches Schreiben, Artikelbearbeitungsgebühren usw.): Der Workshop „Wachstum-Plus“ wurde am 11.06.2021 als Webinar gemeinsam mit Pädiatrischen Endokrinolog:innen und Psycholog:innen durchgeführt. Von den Autor:innen wurden nach aktueller Literaturrecherche Vorträge zum Thema „Effekte einer Therapie mit Wachstumshormon auf die Gesundheitsbezogene Lebensqualität von kleinwüchsigen Kindern“ gehalten. Die Themen wurden mit allen Co-Autoren:innen diskutiert und im Konsensus in diesem Manuskript zusammengefasst. Das Webinar wurde von der Pfizer Pharma GmbH organisiert und finanziert. Pfizer hatte dabei keinen Einfluss auf die inhaltliche Ausgestaltung und die Ergebnisse. Alle Autor:innen erhielten für die Literaturrecherche und Vorstellung der Ergebnisse ein Honorar von Pfizer. *In den letzten 36 Monaten:* Zuschüsse oder Verträge: keine; Tantiemen oder Lizenzen: keine; Beratungshonorare: keine; Bezahlung oder Honorare für Vorträge, Präsentationen, Referentenbüros, Manuskripterstellung oder Bildungsveranstaltungen: – 16.11.22 Viiv Healthcare: Vortrag zum Thema ART unter dem Aspekt der LQ; – 23.10.21 BioMarin: Vortrag zum Thema Living with Achondroplasia; Bezahlung für Sachverständigengutachten: keine; Unterstützung bei der Teilnahme an Meetings und/oder Reisen: keine; Geplante, erteilte oder angemeldete Patente: keine; Mitarbeit in einem Data Safety Monitoring Board oder Beirat: keine; Führungs- oder Treuhänderrolle in einem anderen Vorstand, einer Gesellschaft, einem Ausschuss oder einer Interessengruppe, bezahlt oder unbezahlt: keine; Aktien oder Aktienoptionen: keine; Entgegennahme von Ausrüstung, Medikamenten, medizinischem Schreiben, Geschenken oder anderen Dienstleistungen: keine; Sonstige finanzielle oder nichtfinanzielle Beteiligungen: keine.

**G. Binder** gibt folgende Interessenserklärung ab. *Zeitlich unbegrenzt:* Jegliche Unterstützung für das vorliegende Manuskript (z. B. Finanzierung, Bereitstellung von Studienmaterialien, medizinisches Schreiben, Artikelbearbeitungsgebühren usw.): Fa. Pfizer hat die vorliegende Arbeit durch ein Autorenhonorar unterstützt. *In den letzten 36 Monaten:* Zuschüsse oder Verträge: AWB und Arzneimittelstudien mit Novo Nordisk und Merck; Tantiemen oder Lizenzen: keine; Beratungshonorare von den Firmen Novo Nordisk, Pfizer, Ferring, Merck, Sandoz/Hexal und Ascendis; Bezahlung oder Honorare für Vorträge, Präsentationen, Referentenbüros, Manuskripterstellung oder Bildungsveranstaltungen von den Firmen Ferring, Lilly, Merck, Ipsen, Novo Nordisk, Pfizer und Sandoz; Bezahlung für Sachverständigengutachten von Signal-



Iduna, Hallesche Versicherungen und versch. Gerichte. Unterstützung bei der Teilnahme an Meetings und/oder Reisen durch Novo Nordisk und Pfizer; Geplante, erteilte oder angemeldete Patente: keine; Mitarbeit in einem Data Safety Monitoring Board oder Beirat: keine; Führungs- oder Treuhandrolle in einem anderen Vorstand, einer Gesellschaft, einem Ausschuss oder einer Interessengruppe, bezahlt oder unbezahlt: keine; Leitung der Arbeitsgruppe Wachstum und Hypophyse der DGPAED. Aktien oder Aktienoptionen: keine; Entgegennahme von Ausrüstung, Medikamenten, medizinischem Schreiben, Geschenken oder anderen Dienstleistungen: keine; Sonstige finanzielle oder nichtfinanzielle Beteiligungen: keine.

**S. Witt** gibt folgende Interessenerklärung ab. *Zeitlich unbegrenzt:* Jegliche Unterstützung für das vorliegende Manuskript (z. B. Finanzierung, Bereitstellung von Studienmaterialien, medizinisches Schreiben, Artikelbearbeitungsgebühren usw.): keine. *In den letzten 36 Monaten:* Zuschüsse oder Verträge: keine; Tantiemen oder Lizenzen: keine; Beratungshonorare: keine; Bezahlung oder Honorare für Vorträge, Präsentationen, Referentenbüros, Manuskripterstellung oder Bildungsveranstaltungen: Der Workshop „Wachstum-Plus“ wurde am 11.06.2021 als Webinar gemeinsam mit Pädiatrischen Endokrinolog:innen und Psycholog:innen durchgeführt. Von mir wurde nach aktueller Literaturrecherche ein Vortrag zum Thema „Effekte einer Therapie mit Wachstumshormon auf die Gesundheitsbezogene Lebensqualität von Kindern mit Prader-Willi-Syndrom“ gehalten. Alle Themen wurden mit allen Co-Autoren:innen diskutiert und im Konsensus in diesem Manuskript zusammengefasst. Das Webinar wurde von der Pfizer Pharma GmbH organisiert und finanziert. Pfizer hatte dabei keinen Einfluss auf die inhaltliche Ausgestaltung und die Ergebnisse. Ich erhielt für die Literaturrecherche und Vorstellung der Ergebnisse ein Honorar von Pfizer. Bezahlung für Sachverständigengutachten: keine; Unterstützung bei der Teilnahme an Meetings und/oder Reisen: keine; Geplante, erteilte oder angemeldete Patente: keine; Mitarbeit in einem Data Safety Monitoring Board oder Beirat: keine; Führungs- oder Treuhandrolle in einem anderen Vorstand, einer Gesellschaft, einem Ausschuss oder einer Interessengruppe, bezahlt oder unbezahlt: keine; Aktien oder Aktienoptionen: keine; Entgegennahme von Ausrüstung, Medikamenten, medizinischem Schreiben, Geschenken oder anderen Dienstleistungen: keine; Sonstige finanzielle oder nichtfinanzielle Beteiligungen: keine.

**M. Bullinger** gibt folgende Interessenerklärung ab. *Zeitlich unbegrenzt:* Jegliche Unterstützung für das vorliegende Manuskript (z. B. Finanzierung, Bereitstellung von Studienmaterialien, medizinisches Schreiben, Artikelbearbeitungsgebühren usw.): keine. *In den letzten 36 Monaten:* Zuschüsse oder Verträge: keine; Tantiemen oder Lizenzen: keine; Beratungshonorare: keine; Bezahlung oder Honorare für Vorträge, Präsentationen, Referentenbüros, Manuskripterstellung oder Bildungsveranstaltungen: keine; Bezahlung für Sachverständigengutachten: keine; Unterstützung bei der Teilnahme an Meetings und/oder Reisen: keine; Geplante, erteilte oder angemeldete Patente: keine; Mitarbeit in einem Data Safety Monitoring Board oder Beirat: keine; Führungs- oder Treuhandrolle in einem anderen Vorstand, einer Gesellschaft, einem Ausschuss oder einer Interessengruppe, bezahlt oder unbezahlt: keine; Aktien oder Aktienoptionen: keine; Entgegennahme von Ausrüstung, Medikamenten, medizinischem Schreiben, Geschenken oder anderen Dienstleistungen: keine; Sonstige finanzielle oder nichtfinanzielle Beteiligungen: keine.

**J. Blömeke** gibt folgende Interessenerklärung ab. *Zeitlich unbegrenzt:* Jegliche Unterstützung für

das vorliegende Manuskript (z. B. Finanzierung, Bereitstellung von Studienmaterialien, medizinisches Schreiben, Artikelbearbeitungsgebühren usw.): keine. *In den letzten 36 Monaten:* Zuschüsse oder Verträge: keine; Tantiemen oder Lizenzen: keine; Beratungshonorare: keine; Bezahlung oder Honorare für Vorträge, Präsentationen, Referentenbüros, Manuskripterstellung oder Bildungsveranstaltungen: Ja: Ein Workshop „Wachstum-Plus“ wurde am 11.06.2021 als Webinar gemeinsam mit Pädiatrischen Endokrinolog:innen und Psycholog:innen durchgeführt. Hierbei habe ich, Janika Blömeke, nach aktueller Literaturrecherche einen Vortrag zum Thema „Effekte einer Therapie mit Wachstumshormon auf die Gesundheitsbezogene Lebensqualität von kleinwüchsigen Kindern“ gehalten. Das Webinar wurde von der Pfizer Pharma GmbH organisiert und finanziert. Pfizer hatte dabei keinen Einfluss auf die inhaltliche Ausgestaltung und die Ergebnisse. Für die Literaturrecherche und Vorstellung der Ergebnisse erhielt ich ein Honorar von Pfizer. Bezahlung für Sachverständigengutachten: keine; Unterstützung bei der Teilnahme an Meetings und/oder Reisen: keine; Geplante, erteilte oder angemeldete Patente: keine; Mitarbeit in einem Data Safety Monitoring Board oder Beirat: keine; Führungs- oder Treuhandrolle in einem anderen Vorstand, einer Gesellschaft, einem Ausschuss oder einer Interessengruppe, bezahlt oder unbezahlt: keine; Aktien oder Aktienoptionen: keine; Entgegennahme von Ausrüstung, Medikamenten, medizinischem Schreiben, Geschenken oder anderen Dienstleistungen: keine; Sonstige finanzielle oder nichtfinanzielle Beteiligungen: keine.

**S. Fricke-Otto** gibt folgende Interessenerklärung ab. *Zeitlich unbegrenzt:* Jegliche Unterstützung für das vorliegende Manuskript (z. B. Finanzierung, Bereitstellung von Studienmaterialien, medizinisches Schreiben, Artikelbearbeitungsgebühren usw.): keine. *In den letzten 36 Monaten:* Zuschüsse oder Verträge: keine; Tantiemen oder Lizenzen: keine; Beratungshonorare: keine; Bezahlung oder Honorare für Vorträge, Präsentationen, Referentenbüros, Manuskripterstellung oder Bildungsveranstaltungen: ja; Bezahlung für Sachverständigengutachten: keine; Unterstützung bei der Teilnahme an Meetings und/oder Reisen: keine; Geplante, erteilte oder angemeldete Patente: keine; Mitarbeit in einem Data Safety Monitoring Board oder Beirat: keine; Führungs- oder Treuhandrolle in einem anderen Vorstand, einer Gesellschaft, einem Ausschuss oder einer Interessengruppe, bezahlt oder unbezahlt: keine; Aktien oder Aktienoptionen: keine; Entgegennahme von Ausrüstung, Medikamenten, medizinischem Schreiben, Geschenken oder anderen Dienstleistungen: keine; Sonstige finanzielle oder nichtfinanzielle Beteiligungen: keine.

**B. Hauffa** gibt folgende Interessenerklärung ab. *Zeitlich unbegrenzt:* Jegliche Unterstützung für das vorliegende Manuskript (z. B. Finanzierung, Bereitstellung von Studienmaterialien, medizinisches Schreiben, Artikelbearbeitungsgebühren usw.): Pfizer. *In den letzten 36 Monaten:* Zuschüsse oder Verträge: keine; Tantiemen oder Lizenzen: keine; Beratungshonorare: Merck-Serono, Soleno; Bezahlung oder Honorare für Vorträge, Präsentationen, Referentenbüros, Manuskripterstellung oder Bildungsveranstaltungen: Merck-Serono, Novo Nordisk, Sandoz; Bezahlung für Sachverständigengutachten: European Science Foundation, Landesärztekammer Hessen; Unterstützung bei der Teilnahme an Meetings und/oder Reisen: Merck-Serono, Pfizer Novo Nordisk, Sandoz; Geplante, erteilte oder angemeldete Patente: keine; Mitarbeit in einem Data Safety Monitoring Board oder Beirat: Merck-Serono; Führungs- oder Treuhandrolle in einem anderen Vorstand, einer Gesellschaft, einem Ausschuss oder einer Interessengruppe, bezahlt oder

unbezahlt: keine; Aktien oder Aktienoptionen: keine; Entgegennahme von Ausrüstung, Medikamenten, medizinischem Schreiben, Geschenken oder anderen Dienstleistungen: keine; Sonstige finanzielle oder nichtfinanzielle Beteiligungen: keine.

**S. Kahrs** (Dipl.-Psych., Psychologische Psychotherapeutin, Psychoanalytikerin) gibt folgende Interessenerklärung ab. *Zeitlich unbegrenzt:* Jegliche Unterstützung für das vorliegende Manuskript (z. B. Finanzierung, Bereitstellung von Studienmaterialien, medizinisches Schreiben, Artikelbearbeitungsgebühren usw.): keine. *In den letzten 36 Monaten:* Zuschüsse oder Verträge: keine; Tantiemen oder Lizenzen: keine; Beratungshonorare: keine; Bezahlung oder Honorare für Vorträge, Präsentationen, Referentenbüros, Manuskripterstellung oder Bildungsveranstaltungen: keine; Bezahlung für Sachverständigengutachten: keine; Unterstützung bei der Teilnahme an Meetings und/oder Reisen: keine; Geplante, erteilte oder angemeldete Patente: keine; Mitarbeit in einem Data Safety Monitoring Board oder Beirat: keine; Führungs- oder Treuhandrolle in einem anderen Vorstand, einer Gesellschaft, einem Ausschuss oder einer Interessengruppe, bezahlt oder unbezahlt: keine; Aktien oder Aktienoptionen: keine; Entgegennahme von Ausrüstung, Medikamenten, medizinischem Schreiben, Geschenken oder anderen Dienstleistungen: keine; Sonstige finanzielle oder nichtfinanzielle Beteiligungen: keine.

**C.-J. Partsch** gibt folgende Interessenerklärung ab. *Zeitlich unbegrenzt:* Jegliche Unterstützung für das vorliegende Manuskript (z. B. Finanzierung, Bereitstellung von Studienmaterialien, medizinisches Schreiben, Artikelbearbeitungsgebühren usw.): keine. *In den letzten 36 Monaten:* Zuschüsse oder Verträge: keine; Tantiemen oder Lizenzen: keine; Beratungshonorare: Ascendis Pharma, Sandoz, Pfizer, Merck; Bezahlung oder Honorare für Vorträge, Präsentationen, Referentenbüros, Manuskripterstellung oder Bildungsveranstaltungen: Pfizer, Sandoz; Bezahlung für Sachverständigengutachten: keine; Unterstützung bei der Teilnahme an Meetings und/oder Reisen: keine; Geplante, erteilte oder angemeldete Patente: keine; Mitarbeit in einem Data Safety Monitoring Board oder Beirat: keine; Führungs- oder Treuhandrolle in einem anderen Vorstand, einer Gesellschaft, einem Ausschuss oder einer Interessengruppe, bezahlt oder unbezahlt: keine; Aktien oder Aktienoptionen: keine; Entgegennahme von Ausrüstung, Medikamenten, medizinischem Schreiben, Geschenken oder anderen Dienstleistungen: keine; Sonstige finanzielle oder nichtfinanzielle Beteiligungen: keine.

**A. Rohenkohl** gibt folgende Interessenerklärung ab. *Zeitlich unbegrenzt:* Jegliche Unterstützung für das vorliegende Manuskript (z. B. Finanzierung, Bereitstellung von Studienmaterialien, medizinisches Schreiben, Artikelbearbeitungsgebühren usw.): keine. *In den letzten 36 Monaten:* Zuschüsse oder Verträge: keine; Tantiemen oder Lizenzen: keine; Beratungshonorare: keine; Bezahlung oder Honorare für Vorträge, Präsentationen, Referentenbüros, Manuskripterstellung oder Bildungsveranstaltungen: Honorar für einen Vortrag von Pfizer Pharma GmbH; Bezahlung für Sachverständigengutachten: keine; Unterstützung bei der Teilnahme an Meetings und/oder Reisen: keine; Geplante, erteilte oder angemeldete Patente: keine; Mitarbeit in einem Data Safety Monitoring Board oder Beirat: keine; Führungs- oder Treuhandrolle in einem anderen Vorstand, einer Gesellschaft, einem Ausschuss oder einer Interessengruppe, bezahlt oder unbezahlt: keine; Aktien oder Aktienoptionen: keine; Entgegennahme von Ausrüstung, Medikamenten, medizinischem Schreiben, Geschenken oder anderen Dienstleistungen: keine; Sonstige finanzielle oder nichtfinanzielle Beteiligungen: keine.

**H.-G. Dörr** gibt folgende Interessenerklärung ab. *Zeitlich unbegrenzt*: Jegliche Unterstützung für das vorliegende Manuskript (z. B. Finanzierung, Bereitstellung von Studienmaterialien, medizinisches Schreiben, Artikelbearbeitungsgebühren usw.): keine, ich bin seit 5 Jahren im Ruhestand. *In den letzten 36 Monaten*: Zuschüsse oder Verträge: keine; Tantiemen oder Lizenzen: keine; Beratungshonorare: keine; Bezahlung oder Honorare für Vorträge, Präsentationen, Referentenbüros, Manuskripterstellung oder Bildungsveranstaltungen: ja; Bezahlung für Sachverständigengutachten: ja; Unterstützung bei der Teilnahme an Meetings und/oder Reisen: keine; Geplante, erteilte oder angemeldete Patente: keine; Mitarbeit in einem Data Safety Monitoring Board oder Beirat: keine; Führungs- oder Treuhänderrolle in einem anderen Vorstand, einer Gesellschaft, einem Ausschuss oder einer Interessengruppe, bezahlt oder unbezahlt: keine; Aktien oder Aktienoptionen: keine; Entgegennahme von Ausrüstung, Medikamenten, medizinischem Schreiben, Geschenken oder anderen Dienstleistungen: keine; Sonstige finanzielle oder nichtfinanzielle Beteiligungen: keine.

Für diesen Beitrag wurden von den Autor/-innen keine Studien an Menschen oder Tieren durchgeführt. Für die aufgeführten Studien gelten die jeweils dort angegebenen ethischen Richtlinien.

**Open Access.** Dieser Artikel wird unter der Creative Commons Namensnennung 4.0 International Lizenz veröffentlicht, welche die Nutzung, Vervielfältigung, Bearbeitung, Verbreitung und Wiedergabe in jeglichem Medium und Format erlaubt, sofern Sie den/die ursprünglichen Autor(en) und die Quelle ordnungsgemäß nennen, einen Link zur Creative Commons Lizenz beifügen und angeben, ob Änderungen vorgenommen wurden.

Die in diesem Artikel enthaltenen Bilder und sonstiges Drittmaterial unterliegen ebenfalls der genannten Creative Commons Lizenz, sofern sich aus der Abbildungslegende nichts anderes ergibt. Sofern das betreffende Material nicht unter der genannten Creative Commons Lizenz steht und die betreffende Handlung nicht nach gesetzlichen Vorschriften erlaubt ist, ist für die oben aufgeführten Weiterverwendungen des Materials die Einwilligung des jeweiligen Rechteinhabers einzuholen.

Weitere Details zur Lizenz entnehmen Sie bitte der Lizenzinformation auf <http://creativecommons.org/licenses/by/4.0/deed.de>.

## Literatur

- Amedro P, Tahhan N, Bertet H et al (2017) Health-related quality of life among children with Turner syndrome: controlled cross-sectional study. *J Pediatr Endocrinol Metab* 30:863–868
- Amundson E, Boman UW, Barrenäs ML et al (2010) Impact of growth hormone therapy on quality of life in adults with Turner syndrome. *J Clin Endocrinol Metab* 95:1355–1359
- Baceljaaw P, Cappa M, Kiess W et al (2021) Impact of short stature on quality of life: a systematic literature review. *Growth Horm IGF Res* 57–58:101392
- Bakker NE, Kuppens RJ, Siemensma EP et al (2013) Eight years of growth hormone treatment in children with Prader-Willi syndrome: maintaining the positive effects. *J Clin Endocrinol Metab* 98:4013–4022
- Bakker NE, Siemensma EP, Van Rijn M et al (2015) Beneficial effect of growth hormone treatment on health-related quality of life in children with Prader-Willi syndrome: a randomized controlled trial and longitudinal study. *Horm Res Paediatr* 84:231–239
- Bannink EM, Van Pareren YK, Theunissen NC et al (2005) Quality of life in adolescents born small for gestational age: does growth hormone make a difference? *Horm Res* 64:166–174
- Binder G, Brämwig J, Dörr H-G et al (2011) „Small for Gestational Age“ (SGA)-Kleinwuchs. Aktuelle Empfehlungen zur Therapie mit Wachstumshormon. *Monatsschrift Kinderheilkunde* 159:855–862
- Bloemeke J, Silva N, Bullinger M et al (2019) Psychometric properties of the quality of life in short statured youth (QoLISSY) questionnaire within the course of growth hormone treatment. *Health Qual Life Outcomes* 17:49
- Britto MT, Devellis RF, Hornung RW et al (2004) Health care preferences and priorities of adolescents with chronic illnesses. *Pediatrics* 114:1272–1280
- Brod M, Alolga SL, Beck JF et al (2017) Understanding burden of illness for child growth hormone deficiency. *Qual Life Res* 26:1673–1686
- Bullinger M, Quitmann J, Power M et al (2013) Assessing the quality of life of health-referred children and adolescents with short stature: development and psychometric testing of the QoLISSY instrument. *Health Qual Life Outcomes* 11:76
- Butler G, Turlejski T, Wales G et al (2019) Growth hormone treatment and health-related quality of life in children and adolescents: a national, prospective, one-year controlled study. *Clin Endocrinol* 91:304–313
- Caliandro P, Grugni G, Padua L et al (2007) Quality of life assessment in a sample of patients affected by Prader-Willi syndrome. *J Paediatr Child Health* 43:826–830
- Carel JC, Ecosse E, Bastie-Sigeac I et al (2005) Quality of life determinants in young women with Turner's syndrome after growth hormone treatment: results of the StaTur population-based cohort study. *J Clin Endocrinol Metab* 90:1992–1997
- Carrel AL, Myers SE, Whitman BY et al (1999) Growth hormone improves body composition, fat utilization, physical strength and agility, and growth in Prader-Willi syndrome: A controlled study. *J Pediatr* 134:215–221
- Cassidy SB, Driscoll DJ (2009) Prader-Willi syndrome. *Eur J Hum Genet* 17:3–13
- Cohen P, Rogol AD, Deal CL et al (2008) Consensus statement on the diagnosis and treatment of children with idiopathic short stature: a summary of the growth hormone research society, the Lawson Wilkins pediatric endocrine society, and the European society for Paediatric endocrinology workshop. *J Clin Endocrinol Metab* 93:4210–4217
- De Silva KS, De Zoysa P (2011) Assessment of the psychological status of children with growth hormone deficiency and their parents. *Ceylon Med J* 56:59–61
- Deutsche Gesellschaft Für Kinderendokrinologie Und -Diabetologie E.V. (2022) S2e-Leitlinie Diagnostik des Wachstumshormonmangels im Kindes- und Jugendalter. AWMF online (Registernummer 174-002)
- Drosatou C, Vlachopapadopoulou E-A, Bullinger M et al (2019) Validation of the Greek version of the Quality of Life in Short Stature Youth (QoLISSY) questionnaire. *J Pediatr Endocrinol Metab* 32:215–224
- Goldstone AP, Holland AJ, Hauffa BP et al (2008) Recommendations for the diagnosis and management of Prader-Willi syndrome. *J Clin Endocrinol Metab* 93:4183–4197
- González Briceño LG, Viaud M, Beltrand J et al (2019) Improved general and height-specific quality of life in children with short stature after 1 year on growth hormone. *J Clin Endocrinol Metab* 104:2103–2111
- Gravholt CH, Andersen NH, Conway GS et al (2017) Clinical practice guidelines for the care of girls and women with Turner syndrome: proceedings from the 2016 Cincinnati international Turner Syndrome meeting. *Eur J Endocrinol* 177:G1–G70
- Hokken-Koelega AC (2002) What is the role of GH therapy in children born small for gestational age? In: Monson JP (Hrsg) *Challenges in growth hormone therapy*. Blackwell Science, Oxford
- Holland A, Whittington J, Hinton E (2003) The paradox of Prader-Willi syndrome: a genetic model of starvation. *Lancet* 362:989–991
- Ihara H, Ogata H, Sayama M et al (2014) QOL in caregivers of Japanese patients with Prader-Willi syndrome with reference to age and genotype. *Am J Med Genet* 164a:2226–2231
- Karlberg J, Albertsson-Wikland K (1995) Growth in full-term small-for-gestational-age infants: from birth to final height. *Pediatr Res* 38:733–739
- Kayadjanian N, Vrana-Diaz C, Bohonowych J et al (2021) Characteristics and relationship between hyperphagia, anxiety, behavioral challenges and caregiver burden in Prader-Willi syndrome. *PLoS ONE* 16:e248739
- Krantz E, Landin-Wilhelmsen K, Trimpou P et al (2019) Health-related quality of life in Turner Syndrome and the influence of growth hormone therapy: a 20-year follow-up. *J Clin Endocrinol Metab* 104:5073–5083
- Lagrou K, Vanderfaeillie J, Froidecoeur C et al (2007) Effect of 2 years of high-dose growth hormone therapy on cognitive and psychosocial development in short children born small for gestational age. *Eur J Endocrinol* 156:195–201
- Liedmeier A, Jendryczko D, Van Der Grinten HC et al (2020) Psychosocial well-being and quality of life in women with Turner syndrome. *Psychoneuroendocrinology* 113:104548
- López-Bastida J, Peña-Longobardo LM, Aranda-Reneo I et al (2017) Social/economic costs and health-related quality of life in patients with spinal muscular atrophy (SMA) in Spain. *Orphanet J Rare Dis* 12:141
- Luo Y, Zheng Z, Yang Y et al (2021) Effects of growth hormone on cognitive, motor, and behavioral development in Prader-Willi syndrome children: a meta-analysis of randomized controlled trials. *Endocrine* 71:321–330
- Myers SE, Carrel AL, Whitman BY et al (2000) Sustained benefit after 2 years of growth hormone on body composition, fat utilization, physical strength and agility, and growth in Prader-Willi syndrome. *J Pediatr* 137:42–49
- Naeraa RW, Nielsen J (1990) Standards for growth and final height in Turner's syndrome. *Acta Paediatr Scand* 79:182–190
- Orphanet Report Series. Rare Diseases Collection (2019) Prevalence and incidence of rare diseases: Bibliographic data Prevalence, incidence or number of published cases listed by diseases (in alphabetical order). In:
- Otero SC, Eiser C, Wright NP et al (2013) Implications of parent and child quality of life assessments for decisions about growth hormone treatment in eligible children. *Child Care Health Dev* 39:782–788

38. Quitmann J, Bloemeke J, Silva N et al (2019) Quality of life of short-statured children born small for gestational age or idiopathic growth hormone deficiency within 1 year of growth hormone treatment. *Front Pediatr* 7:164
39. Reis CT, De Assumpção MS, Guerra-Junior G et al (2018) Systematic review of quality of life in Turner syndrome. *Qual Life Res* 27:1985–2006
40. Reiter EO, Price DA, Wilton P et al (2006) Effect of growth hormone (GH) treatment on the near-final height of 1258 patients with idiopathic GH deficiency: analysis of a large international database. *J Clin Endocrinol Metab* 91:2047–2054
41. Sandberg DE, Gardner M (2015) Short stature: is it a psychosocial problem and does changing height matter? *Pediatr Clin North Am* 62:963–982
42. Siemensma EP, Van Tummies-De Lind Wijngaarden RF, Festen DA et al (2012) Beneficial effects of growth hormone treatment on cognition in children with Prader-Willi syndrome: a randomized controlled trial and longitudinal study. *J Clin Endocrinol Metab* 97:2307–2314
43. Takeda A, Cooper K, Bird A et al (2010) Recombinant human growth hormone for the treatment of growth disorders in children: a systematic review and economic evaluation. *Health Technol Assess* 14(1–209):iii–iv
44. Tanaka T, Tai S, Morisaki Y et al (2009) Evaluation of quality of life in children with GH deficiency and idiopathic short stature using the child behavior checklist. *Clin Pediatr Endocrinol* 18:15–22
45. Trolle C, Nielsen MM, Skakkebaek A et al (2016) Widespread DNA hypomethylation and differential gene expression in Turner syndrome. *Sci Rep* 6:34220
46. Van Den Hoven AT, Bons LR, Dykgraaf RHM et al (2020) A value-based healthcare approach: Health-related quality of life and psychosocial functioning in women with Turner syndrome. *Clin Endocrinol* 92:434–442
47. Van Der Reijden-Lakeman I, Slijper FM, Van Dongen-Melman JE et al (1996) Self-concept before and after two years of growth hormone treatment in intrauterine growth-retarded children. *Horm Res* 46:88–94
48. Van Pareren YK, Duivenvoorden HJ, Slijper FS et al (2004) Intelligence and psychosocial functioning during long-term growth hormone therapy in children born small for gestational age. *J Clin Endocrinol Metab* 89:5295–5302
49. Visser-Van Balen H, Sinnema G, Geenen R (2006) Growing up with idiopathic short stature: psychosocial development and hormone treatment; a critical review. *Arch Dis Child* 91:433–439
50. Voss LD, Mulligan J (2000) Bullying in school: are short pupils at risk? Questionnaire study in a cohort. *BMJ* 320:612–613
51. Wilson KS, Wiersma LD, Rubin DA (2016) Quality of life in children with Prader-Willi syndrome: parent and child reports. *Res Dev Disabil* 57:149–157
52. Wit JM, Kamp GA, Rikken B (1996) Spontaneous growth and response to growth hormone treatment in children with growth hormone deficiency and idiopathic short stature. *Pediatr Res* 39:295–302
53. World Health Organization (2012) The World Health Organization Quality of Life (WHOQOL). In: WHO/HIS/HSI Rev, Bd. 2012 (03. In:)

**Hinweis des Verlags.** Der Verlag bleibt in Hinblick auf geografische Zuordnungen und Gebietsbezeichnungen in veröffentlichten Karten und Institutsadressen neutral.

## Quality of life of short-statured children and adolescents and growth hormone treatment

**Background:** Pediatric growth disorders can have psychosocial and physical consequences for affected children, adolescents and their families.

**Objective:** How do growth disorders and their treatment with growth hormones (human growth hormone; hGH) affect the quality of life of children and adolescents in the context of idiopathic growth hormone deficiency (IGHD), idiopathic short stature (ISS), Turner syndrome (TS), small for gestational-age (SGA) short stature, and Prader-Willi syndrome (PWS) and their parents?

**Material and methods:** Results of a multiprofessional working meeting with a current literature review.

**Results:** In Germany hGH treatment is not indicated for all mentioned diagnoses. The quality of life of children and adolescents with growth disorders and their parents is often impaired but not necessarily. For example, children and adolescents with ISS often report an average or even higher quality of life than normal growth peers. Similarly, children with PWS also report comparable quality of life to peers. Children with IGHD report impaired quality of life, and girls with TS also report adverse effects on their self-esteem and social life due to their physical health. The associations of hGH treatment and quality of life show inconsistent results; thus, studies report both unchanged quality of life (TS, IGHD) and improved quality of life (IGHD, SGA, PWS).

**Conclusion:** Pediatric growth disorders partly have psychosocial and physical consequences but studies show inconsistent research results. Other factors besides body height play an essential role in assessing the quality of life, such as coping with the disorder.

### Keywords

Child's wellbeing · Parental burden · Psychosocial consequences · Treatment burden