

KINDERNETZWERK



WIR HELFEN WEITER

# *NEUE* Medikamente für Kinder



## **Kindernetzwerk e.V.**

Hanauer Straße 8  
63739 Aschaffenburg  
Telefon: 0 60 21-1 20 30  
Fax: 0 60 21-1 24 46  
[info@kindernetzwerk.de](mailto:info@kindernetzwerk.de)

# Eine Handreichung

# IMPRESSUM

## Herausgeber:

**Kindernetzwerk e.V. - für Kinder, Jugendliche und (junge) Erwachsene mit chronischen Krankheiten und Behinderungen**

Hanauer Straße 8  
63739 Aschaffenburg

Telefon: 0 60 21/1 20 30

E-Mail: [info@kindernetzwerk.de](mailto:info@kindernetzwerk.de)

Internet: [www.kindernetzwerk.de](http://www.kindernetzwerk.de)

## Spendenkonto:

Sparkasse Aschaffenburg-Alzenau  
Spendenkonto-Nr. 924 290  
IBAN DE0279550000000924290  
BIC BYLADEM1ASA

## Vorstand:

Dr. Annette Mund (1. Vorsitzende)  
Dr. Wolfram Hartmann (1. Stellvertretender 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 Kreutz

## Fotos:

thermometer-833085\_pixabay, EMA/PDCO,  
Hartmut Kreutz

## Druck:

Kindernetzwerk e.V.

## Stand:

März 2017

# INHALTSVERZEICHNIS

<b>1.</b>	<b>Raimund Schmid</b> Dipl.Vw., Geschäftsführer Kindernetzwerk e.V.	<b>Neue Medikamente für Kinder</b> <b>- Eine Handreichung</b>	<b>Seite 4</b>
<b>2.</b>	<b>Dr. Stefanie Breitenstein, MD</b> Kinderärztin, Leiterin Kinderstudien von Bayer Pharma AG	Status Quo bei Kinder-Studien in Europa Theoretische Grundlagen und Erfolge der letzten Jahre	<b>Seite 8</b>
<b>3.</b>	<b>Dr. Thorsten Ruppert</b> vfa	Neue Kinderarzneimittel und Ausblick auf Neuzulassungen	<b>Seite 12</b>
<b>4.</b>	<b>Claudia Meier</b> Erfahrungsbericht einer Mutter	Cannabidiol in der Behandlung von Epilepsie im Kindesalter - ein neues Medikament	<b>Seite 19</b>
<b>5.</b>	<b>Dr. Bettina Ulzhöfer</b> Merck Serono GmbH Head Medical Information	Therapietreue und Adhärenz bei jungen Menschen	<b>Seite 22</b>
<b>6.</b>	<b>Dr. Jan de Laffolie</b> Kindergastroenterologe, Universitätsklinikum Gießen	Chronisch entzündliche Darm- erkrankungen: Was können Medikamente leisten und welchen Wert hat die Eltern- Selbsthilfe?	<b>Seite 28</b>
<b>7.</b>	<b>Barbara Mühlfeld</b> Fachärztin für Kinder- heilkunde und Jugend- medizin Allergologie Pädiatrische Pneumologie Sozialpädiatrie	Arzneimittel für chronisch kranke Kinder: Wichtig, aber alleine nicht genug	<b>Seite 34</b>

## EDITORIAL

# Neue Medikamente für Kinder

## Eine Handreichung

**Wie entwickeln sich Arzneimittel für Kinder in der nahen Zukunft weiter? Dieses Thema stand im Fokus eines Workshops, der gemeinsam vom Kindernetzwerk und dem Verband der forschenden Pharma-Unternehmen (vfa) im November 2016 in Frankfurt initiiert und ausgerichtet wurde.**

Die Veranstaltung, deren einzelne Beiträge im Folgenden extra für diese Handreichung nochmals aufbereitet und zusammengefasst worden sind, sollte beleuchten, welche neuen Entwicklungen es bei Kinderarzneimitteln gibt, wie Kinder- und Jugendmediziner die Versorgungssituation in der Klinik und in der Praxis einschätzen und wie Eltern den Alltag mit ihrem kranken Kind erleben. Diese Intention beschrieb **Barbara Haake**, Referentin für Patientenzusammenarbeit beim vfa, gleich zu Beginn. Im Detail ging es dann vor allem um **klinische Studien** mit Kindern, Neuzulassungen von Medikamenten, die Frage von **Adhärenz** bei Minderjährigen sowie um Arzneimittelinnovationen im Kontext einer ganzheitlichen Betrachtungsweise, ergänzte **Raimund Schmid**, Geschäftsführer des Kindernetzwerks.

Bei Arzneimitteln für Kinder ist schon einiges erreicht worden“, räumte **Dr. Stefanie Breitenstein**, Leiterin Kinderstudien beim pharmazeutischen Unternehmen Bayer, im ersten Fachvortrag ein. „Aber wir haben noch viel vor uns“. Das Problem: Arzneimittel sind häufig für Kinder gar nicht zugelassen, somit liegen auch keine ausreichenden wissenschaftlichen Daten zur Anwendung bei Minderjährigen vor. Dies gilt umso mehr, je jünger und je kränker Kinder sind. Denn Daten von Erwachsenen könnten nicht einfach auf Kinder übertragen werden, da Medikamente von jungen Patienten - etwa durch eine nicht ausgereifte Leber- und Nierenfunktion - anders verarbeitet werden.

Bei der Forschung mit Minderjährigen hat es hingegen einen Paradigmenwechsel gegeben: „Weg von dem Standpunkt, dass Kinder vor klinischer Forschung geschützt werden, hat sich die Auffassung durchgesetzt, dass Kinder durch klinische Forschung geschützt werden müssen“, erklärte Breitenstein. Inzwischen werden deutlich mehr Studien mit Kindern durchgeführt, aber es gibt auch Schwierigkeiten, weil die Erfahrung fehlt und die Prüfungen viel Zeit erfordern, die im klinischen Alltag fehlt (mehr zum Thema auf den Seiten 8 bis 11).

vfa-Referent **Dr. Thorsten Ruppert** erläuterte die Kinderarzneimittelverordnung der Europäischen Union von 2006, mit der die Entwicklung von Arzneimitteln für Kinder gefördert werden soll. Sie schreibt fest, dass Unternehmen, die ein Medikament bei der Europäischen Arzneimittelagentur **EMA** zulassen wollen, mit dem pädiatrischen Komitee der (EMA) einen pädiatrischen Prüfplan (PIP) vereinbaren müssen, der sie verpflichtet, die Wirkungsweise des neuen Mittels auch bei Kindern zu untersuchen. Erst danach kann der neuen Arznei eine Zulassung für Erwachsene erteilt werden. „In der Praxis hat sich durchgesetzt, dass mit den Kinderstudien erst nach der Phase II der Klinischen Prüfung an Erwachsenen begonnen wird“, erläuterte Ruppert. Erst dann zeigt sich, dass der Wirkstoff wirksam und sicher ist. Damit würden unnötige Studien an Kindern vermieden.

Die Zahl der Studien mit Minderjährigen ist europaweit gestiegen, sagt Ruppert. Allerdings gibt es noch keinen Anstieg bei den Zulassungen. Dies liegt daran, dass die Entwicklung von kindgerechten Formulierungen ein langwieriger Prozess ist und viele Prüfungen noch andauern. In Deutschland laufen mit Stand November 2016 insgesamt 38 von der Industrie finanzierte Studien mit Kindern und Jugendlichen, die durchaus bereits eine große Bandbreite an Indikationen abdecken (mehr zum Thema auf den Seiten 12 bis 18).

**Barbara Mühlfeld**, niedergelassene Kinder- und Jugendärztin in Bad Homburg, beleuchtete die Versorgungsprobleme aus dem Alltag ihrer Arztpraxis mit den Schwerpunkten Allergologie und pädiatrische Pneumologie. Für Mädchen und Jungen gibt es bei vielen Krankheiten wie Asthma keine Medikamente, die gut wirksam, nebenwirkungsarm und einfach zu verabreichen sind. Als Vertragsärztin ist sie zudem dazu verpflichtet, so zu verordnen, dass die Arznei wirtschaftlich, angemessen und zweckmäßig ist. „Häufig gibt es kein Medikament, was alle Bedingungen erfüllt“, erläuterte Mühlfeld. Kinderärzte müssten ständig „Off-Label“ verordnen, also jene Medikamente, die für ihre kleinen Patienten nicht

zugelassen sind. „Es ist auch für erfahrene Kinderärzte fast immer ein Eiertanz, diese geforderten Bedingungen zu erfüllen“, beklagte sie bei der Veranstaltung von Kindernetzwerk und VFA.



Aber: „Medikamente sind nicht alles“, hob Mühlfeld ausdrücklich hervor. Wesentlich ist darüber hinaus eine vernetzte und interdisziplinäre Versorgung. Die Eltern müssten gestärkt und unterstützt werden, auch durch Selbsthilfegruppen.

Besonders wichtig ist die Einbeziehung von Kindergärten und Schulen, Lehrer und Erzieher müssen geschult werden. Eine Möglichkeit zur Unterstützung kranker Kinder in der Schule, die jetzt in Hessen getestet wird, seien Schulschwestern. In anderen Ländern gehörten diese längst zum festen Bestandteil des Schulalltags (mehr zum Thema auf den Seiten 34 bis 36).

Von dem Leben mit einer kranken Tochter und dem Wagnis, ein neues Medikament auszuprobieren, erzählte **Claudia Meier** (Name geändert). Ihre Tochter hat seit ihrer Geburt unter sehr häufigen Krampfanfällen gelitten, die später als Epilepsie diagnostiziert wurden. Um die teilweise 50 Anfälle pro Tag zu reduzieren, hat sie viele Medikamente ausprobiert, dabei ist fast ausschließlich von den ersten Lebenswochen an auf Off-Label-Verordnungen zurückgegriffen worden. Viele der Mittel wirken dabei aber nur kurzfristig. Dauerhaft stellte sich so keine Besserung ein. „Wir kamen zu der Überzeugung, dass wir etwas verändern und neue Wege gehen müssen“, beschrieb Meier die Situation. Was das genau war und ob dies funktioniert hat, erfahren Sie im Beitrag auf den Seiten 19 bis 21.

Mit der **Therapietreue** von Kindern und Jugendlichen befasste sich in einer weiteren Präsentation **Dr. Bettina Ulzhöfer**, Head Medical Information bei Merck Sereno. Es ist gerade bei Kindern und Jugendlichen wichtig, dafür zu sorgen, dass Medikamente auch genommen und Therapien durchgeführt werden. Denn: „Eine gute Adhärenz kann entscheidend für den Therapieerfolg sein“, betonte Ulzhöfer. Studien haben gezeigt, dass die Adhärenz negativ beeinflusst wird, wenn die jungen Patienten selbst für ihre

Therapie verantwortlich sind. Besser funktioniert es, wenn die Eltern die Verantwortung dafür übernehmen.

Eine Rolle spielt auch der Leidensdruck: Bei „stillen“ Krankheiten, wie Diabetes oder Wachstumsstörungen, die keine Schmerzen verursachen, ist die Therapietreue ein noch größeres Problem als bei anderen Erkrankungen (mehr zum Thema auf den Seiten 22 bis 27).

Aus der Praxis der Patientenversorgung im Krankenhaus berichtete **Dr. Jan de Laffolie**, Oberarzt für Allgemeine Pädiatrie und Gastroenterologie an der Universitätskinderklinik Gießen. Er betreut dort schwerpunktmäßig minderjährige Patienten mit **chronisch** entzündlichen Darmerkrankungen. Zur Behandlung gibt es verschiedene Medikamente, unter anderem auch neue **Biologika**. Doch, viele Arzneimittel müssen auch hier Off-Label verabreicht werden. Grundsätzlich geeignet für die Therapie ist auch eine spezielle Ernährung, die über sechs Wochen eingenommen werden muss. Da sie fürchterlich schmeckt, ist deren Akzeptanz extrem schwierig.

De Laffolie berichtet schließlich von einer Initiative aus den USA für Kinder mit chronisch entzündlichen Darmerkrankungen. Sie hat Kriterien identifiziert, die entscheidend dafür sind, die Versorgung der Betroffenen zu verbessern. Dazu gehört neben den medizinischen Dingen wie guten Ärzten, schnelle und korrekte Diagnosen sowie eine optimale Medikamentenversorgung auch die richtige Ernährung, ein Monitoring des Wachstums der Kinder sowie informierte und engagierte Patientenvertreter. Mit Patienten zusammen ist dort ein Konzept entwickelt worden, wie Minderjährige bzw. deren Eltern in die Lage versetzt werden können, die Therapie gemeinsam mit dem Arzt zu gestalten. Zum Beispiel mit einem Mentoring- und Schulungs-Programm und vielem weiteren mehr, was ein Schlüssel für den Therapieerfolg sein kann (mehr zum Thema auf den Seiten 28 bis 33).

Raimund Schmid  
Geschäftsführer von Kindernetzwerk e.V.  
[schmid@kindernetzwerk.de](mailto:schmid@kindernetzwerk.de)

Die nachfolgenden Texte erheben weder den Anspruch auf Vollständigkeit noch auf Ausschließlichkeit.

Bei Fragen, die ein Text nicht beantworten konnte, wenden Sie sich gerne an die Geschäftsstelle von Kindernetzwerk e.V. ([info@kindernetzwerk.de](mailto:info@kindernetzwerk.de)).

## Status Quo bei Kinder-Studien in Europa

Theoretische Grundlagen und Erfolge der letzten Jahre

Von Dr. med. Stefanie Breitenstein

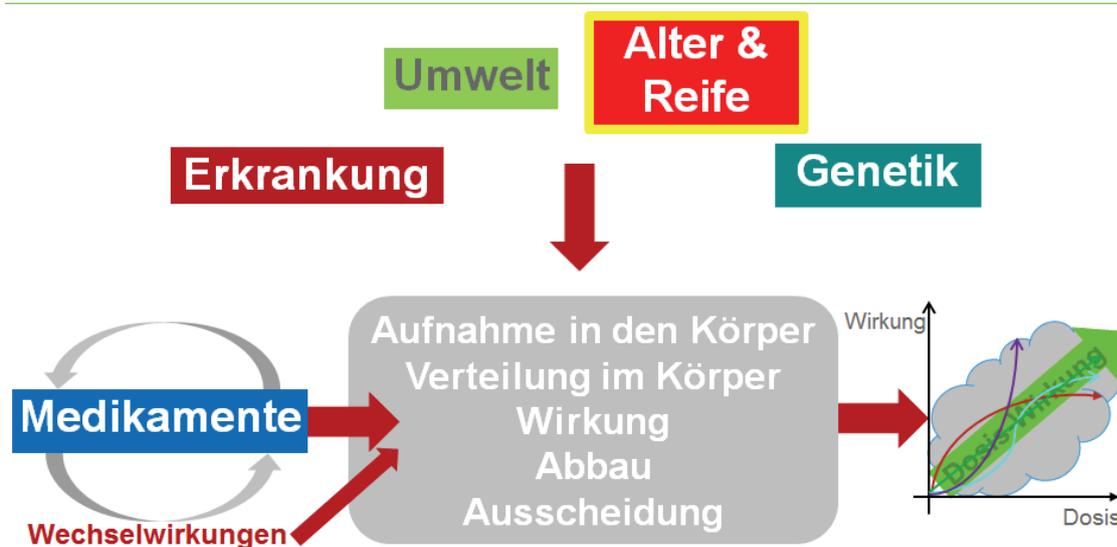
### Sind Kinder therapeutische Waisen? – Ja und Nein

Die Frage lässt sich keineswegs eindeutig beantworten. Man könnte Kinder als „therapeutische Waisen“ sehen, da immer noch Arzneimittel, die in der Kinderheilkunde eingesetzt werden, vielfach nicht oder nicht ausreichend an Kindern untersucht, und somit häufig auch mangels solider Datenbasis für die Anwendung an Kindern nicht zugelassen sind. Dies gilt vor allem, je jünger und kränker Kinder sind. Da die meisten Kinder glücklicherweise gesund und Kinder mit schweren Erkrankungen selten sind, ist die Erforschung dieser Erkrankungen und ihrer Behandlungen oft besonders schwierig.

In der Zeit von der Geburt bis zum 18. Geburtstag erleben die Kinder eine enorme Entwicklung und Reifung von Körper und Geist. Frühgeborene und reife Neugeborene sowie junge Säuglinge haben noch unreife Organfunktionen (Kearns GL et al., N Engl J Med 2003;349:1157-67), und auch ältere Säuglinge, Kleinkinder, Kinder und Jugendliche haben spezielle Bedürfnisse und Entwicklungsbesonderheiten wie z.B. die Pubertät, denen in der Erforschung und Anwendung neuer Medikamente Rechnung getragen werden muss. Dosis und Darreichungsform eines neuen Medikaments müssen demnach speziell an Alter und Reife der Kinder angepasst werden, und die toxikologischen Eigenschaften eines neuen Medikaments und seine Sicherheit in der Langzeitanwendung müssen für die Anwendung an Patienten, die eine stete Entwicklung durchlaufen, speziell untersucht werden.



## Komplexe Pharmakologie



## **In der Kinderarzneimittel-Forschung hat sich jedoch Einiges verbessert.**

Die europäische Gesetzgebung erfordert seit 2006 von der pharmazeutischen Industrie die Erforschung von neuen Arzneimitteln auch für Kinder, damit diese am wissenschaftlichen Fortschritt teilhaben können, und um eine sichere und effektive Behandlung mit einer kindgerechten Darreichungsform zu ermöglichen (EU Regulation (EC) No. 1901/2006 and 1902/2006). Das heißt, dass jedes neue Medikament, das für Erwachsene auf den Markt kommen soll, auch auf seine mögliche Anwendbarkeit bei Kindern überprüft werden muss.

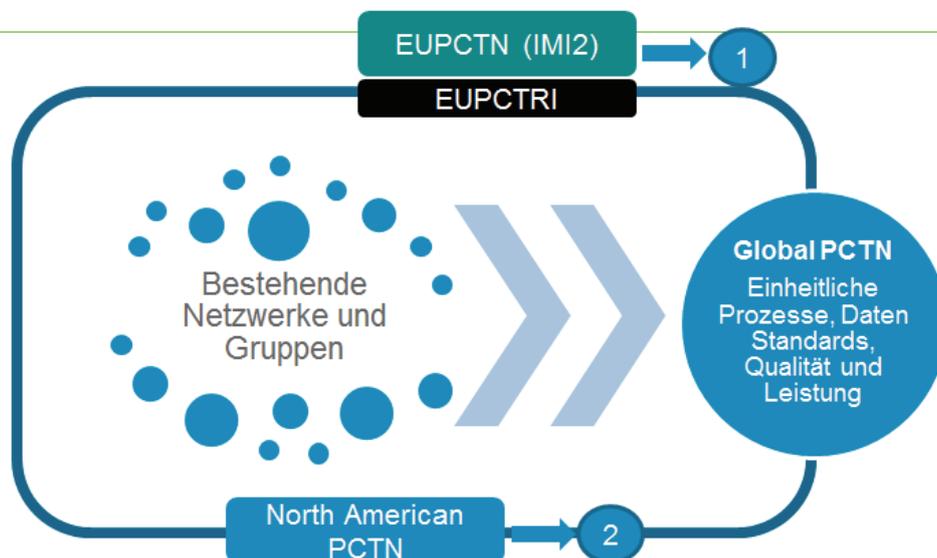
Das Ziel der EU-Verordnung ist die Verbesserung der Gesundheit von Kindern, indem Rahmenbedingungen für die Entwicklung und Verfügbarkeit von Arzneimitteln für Kinder geschaffen werden. Diese sollen dazu dienen, dass Arzneimittel für Kinder von hoher Qualität und durch ethische Forschung entwickelt und zugelassen sind, und dass die Verfügbarkeit von Informationen für die Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern verbessert wird.

Dabei sind klinische Studien in der Kinderheilkunde eine besondere Herausforderung, denn Kinder sind bekanntermaßen keine kleinen Erwachsenen. Die Pädiatrie umspannt in einzigartiger Weise die Behandlung von kleinsten und extrem unreifen Frühgeborenen mit einem Geburtsgewicht von manchmal unter 500 g bis hin zu jungen Erwachsenen. Die Entwicklung von Medikamenten für Kinder erfordert also besondere Methoden, Kreativität und den Einsatz aller Beteiligten. Um zu gelingen, muss sie als gesamtgesellschaftliche Aufgabe verstanden werden, die die Mitwirkungen von Pharmafirmen, Behörden, Ärzten und Krankenschwestern sowie der Gesellschaft im Allgemeinen braucht (\*FDA „Safe and effective medicines for children“).

### **Erste Erfolge sind zu verzeichnen**

Die Anzahl der Medikamentenzulassungen, der Studien sowie der mit den Behörden vereinbarten Studienpläne für Kinder wachsen stetig und werden in Zukunft noch deutlich zunehmen. Um für die Umsetzung der Studien gerüstet zu sein, muss aber eine entsprechende Infrastruktur vorhanden sein und weiter ausgebaut werden. In vielen Kinderkliniken sind jedoch die personellen und zeitlichen Ressourcen ohnehin schon knapp, so dass die Teilnahme an einer klinischen Studie oft eine große Herausforderung darstellt. Die Umsetzung der klinischen Forschung in der Kinderheilkunde zu verbessern ist das Ziel eines neuen Projektes im Rahmen der „innovative medicines initiative“, einer Initiative der EU und der europäischen Vereinigung der Pharmafirmen, EFPIA, die die Entwicklung von besseren und sichereren Medikamenten für Patienten vorantreiben soll (innovative medicines initiative (IMI), <http://www.imi.europa.eu/>). Mit dem Projekt soll **ein europäisches Netzwerk für Studien in der Kinderheilkunde** geschaffen werden, das effizient und professionell die Erforschung neuer Arzneimittel für Kinder unterstützen und zusammen mit dem nordamerikanischen ein globales Netzwerk bilden soll:

## Vision: Europäisches Kinder-Studiennetzwerk EUPCTN pan-European Paediatric Clinical Trials Network



Weitere zukunftsweisende Wege werden mit **innovativen Studiendesigns** beschrieben, die in Zusammenarbeit mit akademischen Experten entwickelt werden und bereits Anwendung finden. Diese innovativen Studiendesigns helfen trotz der häufig geringen Patientenzahl aussagekräftige Studien in überschaubaren Zeiträumen durchzuführen und somit die Zulassung von neuen Arzneimitteln auch für Kinder zeitnäher zu ermöglichen.

**Klinische Studien mit und für Kinder können nur gelingen, wenn bei Planung und Durchführung das kranke Kind und seine Familie ganz im Mittelpunkt stehen.** Die Familien sind durch die Erkrankung des Kindes bereits extrem belastet, so dass die Teilnahme an einer klinischen Studie nur eine Option sein kann, wenn das Studiendesign und das Studienteam in der Klinik dies berücksichtigen. Wie bei Studien für Erwachsene arbeiten Prüfärzte, Firmen, Behörden und Ethik-Kommissionen eng zusammen um den besonderen Schutz von Patienten in Studien sicherzustellen.

**Patientenorganisationen sind hierbei wichtige Partner** und können aus Sicht der Patienten beurteilen, ob geplante Studien und zugehörige Patientenmaterialien akzeptabel sind. In den letzten Jahren gibt es immer mehr Initiativen, die die Meinung der betroffenen Kinder und Jugendlichen einholen (zum Beispiel Gruppe junger Patienten im Kindernetzwerk, <http://nuffieldbioethics.org/project/children-research/>, ICAN (international children's advisory network)).

In der oft schwer belastenden Erkrankungssituation für sein Kind eine Entscheidung für die Teilnahme an einer klinischen Studie zu treffen, kann nicht hoch genug gewürdigt werden. Über den Nutzen für betroffene Kinder hinaus kann klinische Forschung in der Pädiatrie durch innovative Ansätze eine weitreichende Auswirkung auf die Entwicklung neuer Behandlungsoptionen für alle haben.

Dr. med. Stefanie Breitenstein, MD

Bayer Pharma Aktiengesellschaft

Global Clinical Leader Pediatric Development

Cardiovascular

Aprather Weg 18A

42113 Wuppertal, Germany

E-Mail: [stefanie.breitenstein@bayer.com](mailto:stefanie.breitenstein@bayer.com)

# Neue Kinderarzneimittel und Ausblick auf Neuzulassungen

Von Dr. Thorsten Ruppert

***Vor 10 Jahren wurde die neue EU-Kinderarzneimittel-Verordnung verabschiedet, die verlangt, dass bei jeder Arzneimittelentwicklung für Erwachsene die mögliche Anwendbarkeit bei Kindern geprüft werden muss. Deshalb müssen pharmazeutische Firmen pädiatrische Studien durchführen, bevor sie einen Wirkstoff neu zur Zulassung einreichen. In den letzten Jahren wurden daher eine Reihe neuer hochwirksamer Kindermedikamente entwickelt. Bei den älteren, patentfreien Präparaten (Generika) hält sich die pharmazeutische Industrie jedoch mit Studien zurück.***

Wenn ein Kind ernsthaft krank wird, stellt das für die Eltern immer eine enorme Belastung dar. Zentral ist natürlich die Hoffnung, dass das Kind bald wieder gesund wird. Aber auch viele weitere Aspekte spielen eine wichtige Rolle:

- Wie wird das Kind versorgt?
- Welche Unterstützungsmöglichkeiten gibt es?
- Ist die Betreuung während der Krankheitsdauer mit dem Job vereinbar?

**Und ein weiteres Problem ist, ob es für das Kind geeignete Medikamente gibt.**

Denn für das Gesundwerden ist es essentiell, dass die kleinen Patienten mit den für sie passenden Arzneimitteln behandelt werden. Dies ist jedoch nicht immer möglich. Oft erhalten die betroffenen Jungen und Mädchen Präparate, die nicht für ihre Altersgruppe speziell zugelassen sind. Dies gilt insbesondere für schwere Erkrankungen bei ganz jungen Kindern. In Kliniken sollen - abhängig von der Indikation und der Schwere der Erkrankung - auf den Kinderkrankenstationen **bis zu 90 Prozent der Arzneimittel „Off Label“ eingesetzt werden**, wie verschiedene Untersuchungen herausgefunden haben. Das bedeutet, dass die Medikamente nicht in klinischen Prüfungen mit Kindern geprüft wurden und deshalb auch nicht spezifisch für diese zugelassen sind.

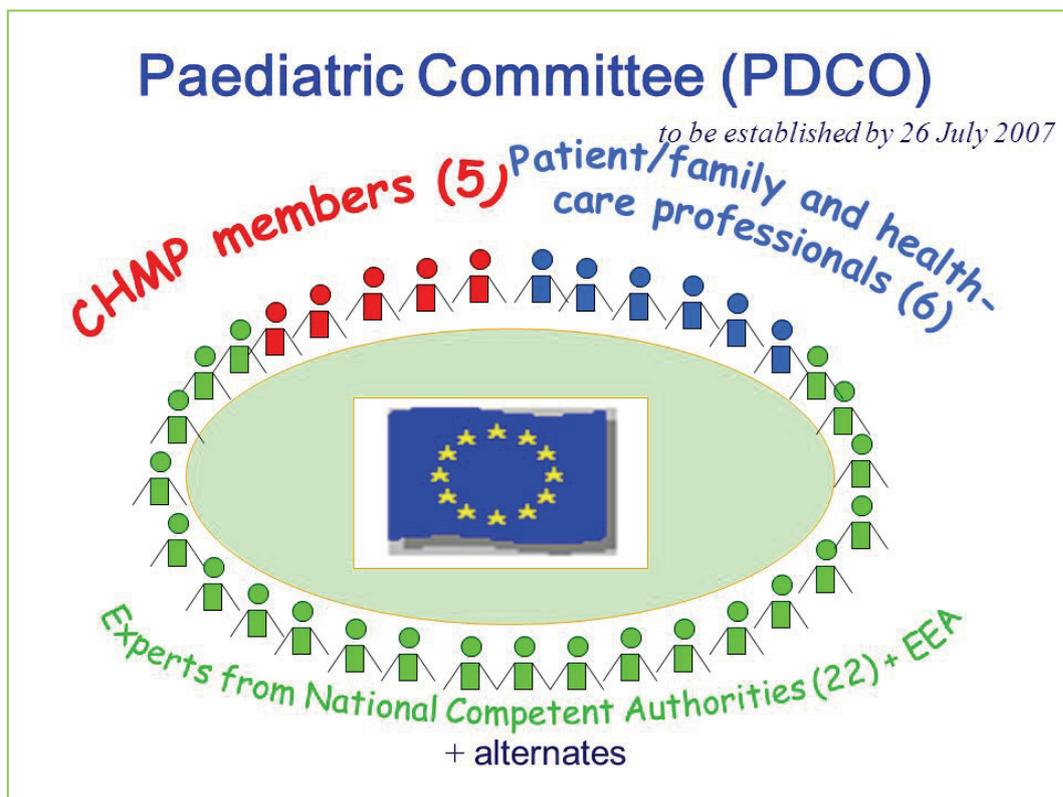
**Kinder brauchen aber Arzneimittel, die genau auf ihre Bedürfnisse abgestimmt sind.**

Doch nur in klinischen Prüfungen können Wirksamkeit und Sicherheit von Medikamenten geprüft werden. Um herauszufinden, wie ein Arzneistoff im kindlichen Körper wirkt, muss dieser für jede Altersgruppe – Frühgeborene, Neugeborene, Kleinkinder, Kinder, Jugendliche - neu untersucht werden. Nur so können Erkenntnisse darüber gewonnen werden, welche Dosierung jeweils die richtige ist.

Denn für ein Kindermedikament darf man nicht einfach die Dosierung von der für Erwachsene auf Basis des Gewichts herunterrechnen und vielleicht noch etwas Erdbeeraroma einarbeiten. Vielmehr muss das Medikament mit jeder Altersgruppe eigens untersucht und seine Wirksamkeit und Unbedenklichkeit nachgewiesen werden.

Häufig ist auch noch die Entwicklung einer kindgerechten Darreichungsform (zum Beispiel einer Minitablette oder einer Trinklösung) erforderlich. Dabei klingt es einfach und selbstverständlich, dass Kinder nun mal „*keine kleinen Erwachsenen*“ sind. Aber wenn es darum geht, dieser Erkenntnis Rechnung zu tragen und die Aufnahme und die Wirkung eines Medikaments altersspezifisch zu betrachten, dann wird es anspruchsvoll und schwierig.

Vor diesem Hintergrund ist die Ende Januar 2007 in Kraft gesetzte EU-Verordnung für Kinderarzneimittel zu sehen, die seit Juli 2008 für alle neuen Zulassungsanträge gilt. Sie hat wesentliche Veränderungen für die Entwicklung von Medikamenten für Kinder gebracht: Ein pharmazeutisches Unternehmen muss danach für jedes neu entwickelte Arzneimittel ein Programm zur Entwicklung bei Kindern bei der **europäischen Zulassungsagentur (EMA) beantragen. Eine zentrale Rolle spielt dabei der Ausschuss für Kinderarzneimittel, das Paediatric Committee (PDCO)**. In diesem Ausschuss wirken neben Vertretern der EMA und der EU-Mitgliedstaaten auch Fachärzte und Vertreter von Patientenorganisationen mit. Diese beraten die vorgelegten Entwicklungspläne oder Freistellungsanträge und geben hierzu Empfehlungen ab, die von der EMA in verbindliche Entscheidungen umgesetzt werden. Bei Arzneimitteln, bei denen eine Entwicklung für Kinder keinen Sinn macht (zum Beispiel ein Arzneimittel gegen Prostatakrebs), muss das Unternehmen eine Freistellung beim PDCO beantragen. Ist auch das PDCO davon überzeugt, dass eine solche Entwicklung speziell für Kinder medizinisch nicht sinnvoll ist, erfolgt die offizielle Freistellung durch die EMA. Diese ist wichtig, da ohne die Durchführung eines Entwicklungsprogramms für Kinder oder einer Freistellungsbescheinigung kein Zulassungsantrag gestellt werden kann. Als teilweise Kompensation für den Aufwand für die Kinderentwicklung kann der Patentschutz für das jeweilige Medikament um maximal 6 Monate verlängert werden.



## Die EU-Verordnung für Kinderarzneimittel hat bereits Einiges bewirkt

Dies zeigt allein schon die Zahl der klinischen Prüfungen mit Kindern, die in den letzten Jahren beantragt und durchgeführt wurden. So belegt der Jahresbericht 2015 der EMA vom 03. Mai 2016 einen deutlichen Anstieg der Anzahl der Kinderstudien in den letzten Jahren:

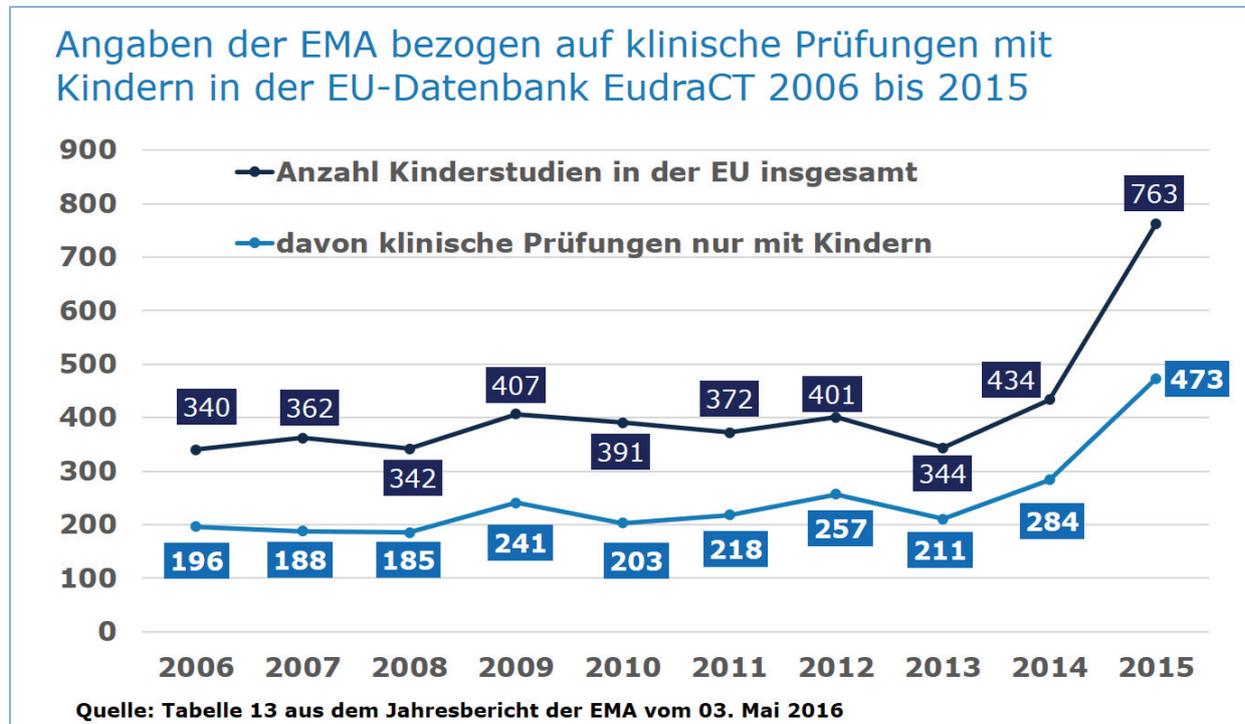


Abbildung 1: Klinische Prüfungen mit Kindern in der EU bis 2015

Ergebnisse klinischer Prüfungen mit erwachsenen Patienten sind dabei für die Situation bei Kindern nicht so einfach übertragbar. Wenn man aus klinischen Prüfungen weiß, dass das Medikament Erwachsenen hilft und die Nebenwirkungen und Risiken des Medikamentes bei Erwachsenen gut (und ständig besser) kennt, heißt das nämlich noch lange nicht, dass dieses Medikament bei Kindern die gleichen Wirkungen und Nebenwirkungen entfaltet.

Der kindliche Stoffwechsel weist je nach Entwicklungszustand viele Besonderheiten im Vergleich zu Erwachsenen auf. So benötigen Kinder von einigen Medikamenten im Verhältnis zum Körpergewicht teilweise höhere Dosierungen als Erwachsene, da sie die Wirkstoffe schneller abbauen. Es kann aber je nach Altersgruppe der Kinder auch genau das Gegenteil der Fall sein, und das Arzneimittel muss in deutlich geringeren Dosierungen verabreicht werden, weil der kindliche Stoffwechsel das betreffende Arzneimittel nur sehr langsam verarbeiten kann. Aufgrund der zum Teil sehr unterschiedlichen **Pharmakokinetik** (was macht der Körper mit dem Arzneistoff?) und **-dynamik** (was macht der Arzneistoff mit dem Körper?) in den unterschiedlichen Altersgruppen, vom Frühgeborenen bis zum Jugendlichen, muss daher jedes Medikament für jede Altersgruppe hinsichtlich seiner Aufnahme und Ausscheidung und

der Wirksamkeit und Unbedenklichkeit in eigenen klinischen Prüfungen untersucht werden.

## Hohe Anforderungen für die Studien an Kindern und Jugendlichen

Jeder Zulassung eines neuen Arzneimittels für Kinder/Jugendliche geht daher ein aufwendiges, mehrjähriges Studienprogramm voraus, in dem Wirksamkeit, Verträglichkeit und die richtige Dosierung des Medikaments geprüft wurden. Durchgeführt werden die klinischen Prüfungen von den Herstellern gemeinsam mit zahlreichen Universitätskliniken oder Arztpraxen in vielen Ländern. Dafür braucht es neben den Unternehmen und engagierten Ärzten auch die Bereitschaft von Eltern sowie Kindern und Jugendlichen, der Teilnahme an solchen Studien zuzustimmen.

Die kinderspezifische Entwicklung eines neuen Arzneimittels wird zwischen pharmazeutischem Unternehmen und dem PCDO vereinbart. Das pharmazeutische Unternehmen muss diesen Entwicklungsplan exakt und im Rahmen der darin vorgegebenen Zeiten abarbeiten; Änderungen müssen der EMA dargelegt und von dieser genehmigt werden. Bei der Planung und Durchführung von klinischen Prüfungen mit Kindern und Jugendlichen kommt der Beachtung besonders hoher ethischer und medizinischer Standards eine besondere Bedeutung zu. So wird beispielsweise auf belastende Untersuchungen wie zusätzliche Blutabnahmen zur Verlaufskontrolle der Therapie wo immer möglich verzichtet. Wichtig ist auch, dass Kinder beziehungsweise Jugendliche ihrem Entwicklungsstand gemäß in alle Entscheidungen über die Teilnahme an der klinischen Prüfung einbezogen werden.

Auf Basis solcher klinischer Prüfungen und deren Ergebnissen wurden allein in den Jahren 2014 und 2015 **24 beziehungsweise 30 neue Medikamente für Kinder und/oder Jugendliche** zugelassen (*neu bedeutet*, dass Präparate mit diesem Wirkstoff oder dieser Darreichungsform zuvor gar nicht oder nur für Erwachsene verfügbar waren).

Unter dem Link [www.vfa.de/kinder](http://www.vfa.de/kinder) sind Medikamente aufgelistet (ohne Anspruch auf Vollständigkeit), die in den letzten Jahren eine Zulassung für Minderjährige oder eine Erweiterung ihres zugelassenen Altersbereichs (zum Beispiel nun auch für 2-6 Jährige statt erst ab 6 Jahren) erhalten haben. Diese Liste umfasst ausschließlich innovative neue Arzneimittelzulassungen beziehungsweise Zulassungserweiterungen für Kinder und Jugendliche.

The screenshot shows the VFA website interface. On the left, there is a section titled 'Seltene Erkrankungen - Häufige Erkrankungen' with a sub-heading 'Wie selten ist selten? - Eine Vergleichsgrafik'. Below this, there is a list of search filters: 'Forschende Pharma-Unternehmen bieten nicht nur Medikamente gegen häufige Erkrankungen an' and 'Seltene Erkrankungen und Orphan Drugs im Kurzfilm'. On the right, there is a search bar with the text 'Wählen Sie eine Erkrankung aus' and a dropdown arrow. Below the search bar is a large circular graphic with a stylized 'V' and 'A' inside. At the bottom of the page, there is a footer that reads 'Dieses Setzen hat 75.000 BesucherInnen, etwa vergleichbar mit dem Berlin Olympiastadion'.

	<b>Zulassungen und Zulassungserweiterungen von Medikamenten für Minderjährige</b>
<b>2006</b>	<b>23</b>
<b>2007</b>	<b>31</b>
<b>2008</b>	<b>17</b>
<b>2009</b>	<b>30</b>
<b>2010</b>	<b>13</b>
<b>2011</b>	<b>21 (+ 1 PUMA)</b>
<b>2012</b>	<b>22</b>
<b>2013</b>	<b>27</b>
<b>2014</b>	<b>23 (+ 1 PUMA)</b>
<b>2015</b>	<b>30</b>
<b>2016 (Stand: Oktober 2016)</b>	<b>22 (+ 1 PUMA)</b>

*Tabelle 1: Anzahl der Zulassungen und Zulassungserweiterungen von Medikamenten für Minderjährige von 2006 bis Oktober 2016*

Diese Liste zeigt, dass in den letzten Jahren eine ganze Reihe von Arzneimitteln in ganz verschiedenen Indikationen für Minderjährige zugelassen wurden. Dazu gehören seltene Erkrankungen wie Mukopolysaccharidose IVA (Morquio A-Syndrom), Morbus Fabry oder Morbus Still. Aber auch breitere Anwendungsgebiete wie Diabetes Typ 1 und 2, HIV-Infektionen, Psoriasis-Arthritis oder Hämophilie B oder Impfstoffe wie einen neuen Impfstoff zur Grippeprophylaxe (H5N1) sind dabei vertreten. Dies zeigt die Breite der Indikationen, in denen an neuen Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche geforscht wird, deutlich auf.

Für die nächsten Jahre stehen viele weitere Studienprogramme mit Minderjährigen vor dem Abschluss. Die Ergebnisse dieser Studien werden dann der EMA vorgelegt und münden dann in weitere Zulassungen beziehungsweise Zulassungserweiterungen von Medikamenten für Minderjährige. Bei Medikamenten mit neuen Wirkstoffen ist die EU-Verordnung für Kinderarzneimittel daher als Erfolg zu werten.

### **Wie sieht es mit Studien bei patentfreien, älteren Präparaten aus?**

Während die pädiatrische Forschung heute fester Bestandteil bei fast jeder Neuentwicklung von Arzneimitteln ist, herrscht bei den älteren, patentfreien Präparaten weitgehender Stillstand. Auch hier hat die EU-Verordnung für Kinderarzneimittel versucht, Anreize zu setzen, damit auch solche Medikamente in Studien mit Minderjährigen geprüft werden, bei denen ein medizinischer Bedarf gesehen wird. Hierfür wurden Listen erstellt, in denen in den jeweiligen Anwendungsgebieten die in Frage

kommenden Wirkstoffe aufgeführt sind. Als Anreiz erhalten die Unternehmen 10 Jahre Unterlagenschutz für die mit Kindern erhobenen Daten, das heißt, andere Hersteller dürfen Arzneimittel mit diesen Wirkstoffen für Kinder erst nach Ablauf von 10 Jahren vermarkten. Solche Zulassungen heißen „PUMA“-Zulassungen (**PUMA = Paediatric use marketing authorisation**).

Trotz dieses Anreizes war die Resonanz der Generika-Hersteller sehr verhalten. Von 2007 bis 2014 wurden insgesamt lediglich 28 Entwicklungsprogramme für PUMA-Anträge eingereicht, und bis Oktober 2016 gab es nur drei Kinderarzneimittel mit einer PUMA-Zulassung (siehe Tabelle 2).

Wirkstoff / Arzneimittel	Indikation	Alter	Darreichungsform
Midazolam / Buccolam®	Epilepsie (akute Krämpfe)	Ab 3 Monaten	Oromukosale Lösung
Popranolol Hydrochlorid / Hemangiol®	Hämangiom (proliferativ)	Ab 5 Wochen bis 5 Monate	Lösung zum Einnehmen
Glycopyrronium bromid / Sialanar®	Sialorrhö	Ab 3 Jahren	Lösung zum Einnehmen

*Tabelle 2: PUMA-Zulassungen seit 2007*

**Hier stellt sich die Frage nach dem „Warum?“.** Problematisch für die Hersteller solcher PUMA-Arzneimittel ist, dass dieser Anreiz durch die Verordnung wirkstoffgleicher Erwachsenen-Medikamente oder durch Apotheken-Rezepturarzneimittel unterlaufen werden kann, die trotz fehlender Kinderzulassung zum Einsatz kommen. Auch zeigen die Krankenkassen in Deutschland wenig Neigung, die Mehrkosten für die speziellen Kinderarzneimittel/Kinder-Darreichungsformen zu tragen. Ein Beispiel ist hier die Geschichte des Präparats Clarosip. Für dieses Antibiotikum wurde aufwendig eine neue Darreichungsform über einen Trinkhalm entwickelt, mit dem eine einfache und kinderfreundliche Anwendung möglich wurde. Aufgrund der Mehrkosten konnte sich dieses aber nicht am Markt durchsetzen. Seit September 2013 müssen alle PUMA-Medikamente durch die sogenannte frühe Nutzenbewertung und anschließend in die Erstattungsbetragsverhandlungen mit den Krankenkassen. Auch dies hat dazu beigetragen, dass sich die Generika-Hersteller in diesem Bereich weiterhin zurückhalten.

### Was müsste sich ändern?

Um in diesem Bereich neue Impuls zu setzen, sollten alle Kinderarzneimittel aufgrund ihrer besonderen Zulassung vom Nachweis eines Zusatznutzens freigestellt werden. Auch sollte sichergestellt werden, dass die Erstattung von für Kinder speziell zugelassenen Arzneimitteln gesichert ist, sobald diese verfügbar sind. Damit wäre gewährleistet, dass das in der EU-Verordnung für Kinderarzneimittel vorgesehene Anreizsystem für PUMA-Zulassungen auch seine Wirkung entfalten kann.

## Fazit:

Es ist gut, dass die EU-Verordnung für Kinderarzneimittel seit 2007 sicherstellt, dass bei allen Neuentwicklungen von Arzneimitteln Kinder - wo es von der Indikation her medizinisch Sinn macht - umfassend zu berücksichtigen sind. Hohe Anforderungen werden bei der Entwicklung neuer Arzneimittel für Kinder an die pädiatrischen Prüfpläne und altersgerechten Formulierungen gestellt, was lange Entwicklungszeiten bedingt. Die EU-Verordnung für Kinderarzneimittel hat dazu geführt, dass die Arzneimittelentwicklung sich auf pädiatrisch bedeutende Anwendungsfelder (zum Beispiel Herz-Kreislauf, Krebs) fokussiert.

Bekannte Wirkstoffe („PUMA-Zulassung“) werden leider bisher nur selten pädiatrisch nachentwickelt. Das liegt vor allem am Marktumfeld für diese Produkte und die sich daraus ergebenden wirtschaftlichen Implikationen für die Arzneimittelhersteller. Daher stellt sich für die Zukunft die Frage, was in der Versorgung von Kindern nach der frühen Nutzenbewertung ankommt, was erstattet wird und was nicht. Hier sollten neue, klare Ansätze getroffen werden, die eine bessere Versorgung mit speziell für Kinder und Jugendliche entwickelten Arzneimitteln sicherstellen und die helfen, die bestehenden Lücken in der Kinderapothek zu füllen.

Dr. Thorsten Ruppert  
Senior Referent

Grundsatzfragen Forschung/Entwicklung/Innovation

Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V. (vfa)

Hausvogteiplatz 13

10117 Berlin

[t.ruppert@vfa.de](mailto:t.ruppert@vfa.de); [www.vfa.de](http://www.vfa.de)

# **Cannabidiol**

## **in der Behandlung von Epilepsie im Kindesalter**

### **- ein neues Medikament -**

Erfahrungsbericht einer Mutter

Unsere Tochter Sarah leidet schon seit den ersten Lebenstagen unter epileptischen Anfällen. Sie ist jetzt sieben Jahre alt. In den ersten Lebenswochen haben uns die behandelnden Ärzte schnell darauf hingewiesen, dass es nur ein Medikament gäbe, welches für die Behandlung von Krampfanfällen bei Säuglingen oder sehr jungen Kindern zugelassen sei. Das sei auch sehr wirksam, wirke sich aber leider negativ auf die Hirnentwicklung bei einer Langzeitbehandlung aus. Andere Medikamente hätten zwar keine Zulassung für Kinder in dem Alter, würden aber seit Jahren verordnet und seien daher erprobt und die einzige Behandlungsmöglichkeit aus schulmedizinischer Sicht für unsere Tochter.

#### **Therapieresistente Epilepsie mit bis zu 60 Anfällen täglich**

So hat Sarah bereits eine Vielzahl an Medikamenten gegen die Epilepsie erhalten, manche haben geholfen, andere nicht. Manche hatten so schwere Nebenwirkungen, dass wir sie absetzen mussten, bevor wir überhaupt den therapeutischen Bereich erreicht hatten. Der Hinweis „Lesen Sie bloß nicht den Beipackzettel“ hat geholfen. Ich bin mir nicht sicher, ob wir die Medikamente Sarah sonst gegeben hätten. Unsere Tochter entwickelte eine therapierefraktäre Epilepsie mit buntem Anfallsbild. Eine schöne Bezeichnung für das eigentlich Unausprechliche. Die Medikamente haben Sarah geholfen, aber immer nur für eine gewisse Zeit, oder sie konnten nicht alle Anfallsbilder unterdrücken. Sie hat drei Antikonvulsiva parallel genommen und hatte trotzdem 50-60 Anfälle am Tag. Wir haben uns 2014 dazu entschieden, die ketogene Diät auszuprobieren. Anfangs mit sehr großem Erfolg, Sarah begann wieder zu lachen, aber leider hat auch dieser nicht angehalten und die Anfälle kamen schleichend wieder. Man kommt als Eltern immer wieder an einen Punkt, wo man merkt, jetzt muss etwas passieren, so geht es nicht weiter.

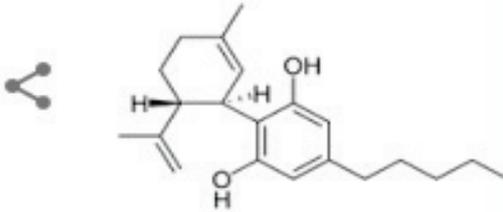
#### **Eine neue Hoffnung – Cannabidiol?**

Im Frühjahr 2015 bekamen wir einen Anruf von einem Freund, der in den USA lebt. Er erzählte uns von einem Bericht auf CNN über ein kleines Mädchen mit Epilepsie. Die Schulmedizin habe Charlotte bereits aufgegeben, da wurde sie mit Cannabidiol behandelt und ihre Anfälle reduzierten sich von 300 in der Woche zu einigen wenigen im Monat. Damit begann unsere Recherche über den Wirkstoff CBD, Cannabidiol. CBD ist eines einer Vielzahl an Phytocannabinoiden der Hanfpflanze. Cannabis findet in der Medizin bereits seit Jahren Anwendung. Am bekanntesten ist wohl der Einsatz in der onkologischen Chemotherapie, unter anderem um Nebenwirkungen zu vermindern, oder auch in der Schmerztherapie. Bislang stand das Phytocannabinoid Tetrahydrocannabidiol, THC, im Vordergrund. THC ist stark psy-

choaktiv. Das CBD-Öl, das Charlotte in den USA erhielt, hat einen hohen Prozentsatz an CBD und einen verschwindend geringen Anteil an THC.

# Cannabidiol

Medizin



Cannabidiol ist ein kaum psychoaktives Cannabinoid aus dem weiblichen Hanf *Cannabis sativa / indica*. Medizinisch wirkt es entkrampfend, entzündungshemmend, angstlösend und gegen Übelkeit. Weitere pharmakologische Effekte, wie z. [Wikipedia](#)

**CAS-Nummer:** 13956-29-1

Quelle: Wikipedia

CBD ist kaum psychoaktiv und wirkt entkrampfend und abhängig von der Dosis nicht anregend. CBD ist gelöst in Öl oder als Kapsel in Deutschland über einige Apotheken zu beziehen. Es kann als Arzneimittel verschrieben werden und fällt nicht unter das Betäubungsmittelgesetz, wie oft angenommen. CBD ist ein Rezepturarzneimittel und wird nicht von der Krankenkasse erstattet, man kann aber eine Kostenerstattung beantragen und im Rahmen einer Einzelfallprüfung ist die Kostenübernahme möglich. Wie viele andere Eltern sind wir über Selbsthilfegruppen, Elternnetzwerke und Therapeuten mit anderen betroffenen Familien in Kontakt und haben eine Familie kennengelernt, die hier in Deutschland lebt und bereits ihrer Tochter CBD gegen Epilepsie für eine kurze Zeit gegeben hatte, allerdings ohne sichtbaren Erfolg. Es gibt eine kleine Studie in den USA (in dem Zeitraum 2014 - 2015) zu dem Thema Cannabidiol bei Patienten mit therapieresistenter Epilepsie im Alter zwischen 1-30. Die Studie kommt zu dem Schluss, CBD könnte die Häufigkeit der Anfälle reduzieren. So hat sich für uns das Puzzle langsam zu einem vagen Bild zusammengesetzt, wie eine Behandlung von Sarah mit CBD aussehen könnte.

### Erste positive Veränderungen

Nach den ersten Informationen haben wir die behandelnden Ärzte auf die Therapiemöglichkeit angesprochen. Diese waren zwar offen im Gespräch, haben aber entweder die Behandlung mit CBD aus möglichen rechtlichen Konsequenzen abgelehnt, oder hatten keine Informationen über den Einsatz von CBD bei Epilepsie, Anwendung und Dosierung war unklar. Wir als Eltern wollten auf keinen Fall einen unbegleiteten Versuch mit dem CBD-Öl vornehmen. Der Hinweis eines Arztes, dass niemand

voraussehen könne, wie die drei Antikonvulsiva und die ketogene Diät mit CBD reagieren, erschien mehr als plausibel. Daher haben wir zunächst die Antikonvulsiva auf eines reduziert. Auch der Kontakt in ein großes Epilepsiezentrum in den Niederlanden blieb erfolglos. Cannabidiol ist dort als Nahrungsergänzung frei verkäuflich.

In dieser Zeit hatten wir das große Glück, dass die behandelnde Neurologin Frau

Suchbegriff eingeben   Kontakt Aktuelles Veranstaltungen Stellenangebote Sitemap Klinikum Frankfurt Höchst

Home **Kliniken und Institute** Tumorzentrum Versorgungsschwerpunkte Für Patienten und Besucher Für Ärzte Beruf, Ausbildung, Studium Über uns

Sozialpädiatrisches Zentrum

Kliniken und Institute  
Sozialpädiatrisches Zentrum

Das Team  
Anmeldung  
Unsere Angebote  
Therapieschwerpunkte  
Informationen für Patienten und Eltern  
Fort- und Weiterbildungen  
Qualität

  
Das Sozialpädiatrische Zentrum (SPZ) ist eine spezialisierte Einrichtung der ambulanten Krankenversorgung von Kindern und Jugendlichen. Inhaltlicher Schwerpunkt sind alle Krankheiten bzw. Verdachtsfälle, die Entwicklungsstörungen, Verhaltensauffälligkeiten, Behinderungen oder seelische Störungen mit sich bringen oder bringen könnten.

  
**Leitung**  
Dr. med. Mechthild Pies  
Kinderneurologin  
Telefon: 069 3106-2172  
Telefax: 069 3106-3359  
E-Mail: [SPZ@KlinikumFrankfurt.de](mailto:SPZ@KlinikumFrankfurt.de)

Dr. Mechthild Pies, SPZ Frankfurt-Höchst, nachdem wir sehr hartnäckig immer wieder das Thema CBD angesprochen hatten, sich mit großem Engagement in das Thema eingearbeitet und Anfang 2016 tatsächlich zu einer Behandlung unserer Tochter mit CBD

bereit erklärt hat. Ohne ihre Unterstützung und Begleitung wären wir den Weg wahrscheinlich nicht gegangen.

Langsam wurde das Öl eingeschlichen. Zunächst hatten wir den Eindruck, unsere Tochter ist wacher, aufmerksamer, trotz andauernder Anfälle, zu dem Zeitpunkt immer noch 50-60 Stück am Tag, hauptsächlich BNS-Anfälle und psychomotorische Anfälle. Dann wurden die Anfälle kürzer, weniger intensiv. Anfang Juni 2016 hat sich nach einer weiteren Steigerung der Dosis ganz plötzlich eine so positive Veränderung gezeigt, dass Sarah nur einen Krampfanfall in der Woche hatte. Diese Entwicklung fand innerhalb von zwei Tagen statt und es war einfach unglaublich. Danach war Sarah für ganze zwei Monate anfallsfrei! Sie konnte wieder lachen und hatte die Chance, ihre Umgebung wahrzunehmen und aktiv zu werden. In dieser Zeit mussten wir die Diät absetzen. Nach den zwei Monaten sind die Krämpfe langsam wieder zurückgekehrt, allerdings verändert, eine andere Anfallsmorphe und deutlich weniger Anfälle. Das EEG unserer Tochter hat sich stark verbessert, nach Aussage des Arztes „wie Tag und Nacht“ und wir hoffen, dass sich diese sehr positive Entwicklung weiter fortsetzt.

### Wie kommt man also zu einem neuen Medikament?

In unserem Fall durch Mundpropaganda. Allerdings ist der Entscheidungsprozess und der Weg lang. Als Eltern geht man den Weg, wenn man Hoffnung auf Besserung hat, glaubt das Risiko im Griff zu haben oder schlichtweg keine Alternative besteht. Eltern sind angewiesen auf Ärzte, die das Vertrauen der Familie und den Mut und das Engagement haben, das Wagnis einzugehen und den neuen Ansatz professionell zu begleiten.

# Therapietreue und Adhärenz bei jungen Menschen

Von Dr. Bettina Ulzhöfer

## Begriffsdefinition: Adhärenz und Compliance

Fähigkeit beziehungsweise Bereitschaft eines Patienten, sich einem vom Arzt verordneten Therapieregime zu unterwerfen.

### Compliance

- Unterstellt dem Patienten hinsichtlich seiner Therapie einen hohen Grad an *Unterordnung unter die Anweisungen* des Arztes

### Adhärenz

- Geht aus vom *Einverständnis zwischen Arzt und Patient* über die Durchführung einer bestimmten therapeutischen Maßnahme
- Patient ist gleichberechtigter Partner bei der Behandlungsplanung, versteht und akzeptiert die Bedeutung einer Einhaltung des vereinbarten Therapieregimes

## Studiendaten zur Therapietreue

(Lass N, Reinehr T. Horm Res Paediatr 2015;84:240–247)

## Untersuchung an Jugendlichen

Behandlung mit Schilddrüsenhormon (Tabletten) oder Wachstumshormon (Injektion)

Unabhängig davon, ob es um Tabletten oder Injektionen geht: Negativer Einfluss auf die Adhärenz bei chronischen Erkrankungen durch

- Selbstverabreichen der Medikation
- Pubertät → niedrige Adhärenz hier nicht ungewöhnlich

## Schlussfolgerungen

- Besonders bei Jugendlichen muss auf die Adhärenz geachtet werden
- Keine strukturierten Trainings für den Übergang zum selbstverantwortlichen Therapiemanagement vorhanden
- Therapieerfolg ist kein positiver Prädiktor für gute Adhärenz



Liegt die Körperhöhe unterhalb der dritten Wachstumssperzentile, ist das ein Hinweis auf eine **Wachstumsstörung**.

Eine genaue Diagnose mit den folgenden Verfahren kann dann erforderlich sein:

- Anamnese (inklusive Schwangerschaftsverlauf, Geburts-, Familienanamnese, Ernährungs- und psychosoziale Situation)
- Klinische Untersuchung (inklusive Dysmorphiezeichen, Körperproportionen, Pubertätsentwicklung, Wachstumsgeschwindigkeit)
- Labordiagnostik inklusive spezielle endokrinologische Diagnostik (unter anderem GH-Stimulationstests)
- Bildgebende Diagnostik
- Molekulargenetische Untersuchungen

### Indikationen für eine Behandlung mit Wachstumshormon

- Hypophysärer Kleinwuchs = Kleinwuchs aufgrund eines nachgewiesenen Wachstumshormonmangels (GHD).
- Kleinwuchs aufgrund eines Ullrich-Turner-Syndroms.
- Kleinwuchs bei chronischer Niereninsuffizienz.
- Kleinwuchs aufgrund vorgeburtlicher Wachstumsverzögerung (SGA).
- Prader-Willi-Syndrom.
- Kleinwuchs bei SHOX-Mangel.
- Wachstumshormonmangel beim Erwachsenen, A-GHD.



#### **Deutschland:**

- > Derzeit etwa 78.400 Patienten mit Wachstumshormonmangel.
- > Pro Jahr starten etwa 1.800 Patienten eine Therapie mit Wachstumshormon.

### **Ziele einer Therapie mit Wachstumshormon**

- Verbesserung der momentanen Größe durch Initiierung eines Aufholwachstums
- Erhöhung der Wachstumsgeschwindigkeit
- Erreichen eines regelmäßigen Wachstums innerhalb des Normbereiches
- Erreichen einer normalen, zeitgerechten Pubertät
- Verbesserung der Endhöhe (soll im familiären Zielbereich liegen)
- Korrektur des metabolischen Ungleichgewichtes
- Verbesserung der Lebensqualität

### **Besonderheiten einer Therapie mit Wachstumshormon**

- Mehrjährige Therapie
- Tägliche Injektion
- Adhärenz wichtig für Therapieerfolg
- hoher Beratungsbedarf bei Familien
- Kleines Zeitfenster für Intervention
- Therapieunterstützung wichtig

### **Einflussfaktoren auf die Endgröße**

- Alter bei Beginn der Therapie
  - chronologisches Alter
  - Knochenalter
- Körperhöhe bei Beginn der Therapie
- Einsetzen der Pubertät (früh/spät)
- Größe der Eltern
- Wachstumshormondosis
- **Injektionsfrequenz**
- Dauer der GH-Therapie

## Voraussetzungen für gute Adhärenz und Therapieerfolg

(nach Haverkamp et al., J Med Econ 2011, 14(4):448-457)

- Erkennen technischer, physischer oder psychologischer Barrieren beim Patienten
- Informationsstand und Verständnis der Patienten oder der Eltern für die Krankheit und ihre Behandlung
- Verdeutlichung der Bedeutung und der Wichtigkeit einer regelmäßigen Gabe von Wachstumshormon
- Bereitstellung geeigneter Applikationssysteme
  - komfortabler zu verwenden als konventionelle Spritzen
  - weniger Schmerzen an der Injektionsstelle
  - voreingestellte Dosis

## Förderung der Adhärenz durch Pharmaunternehmen

### ► *Informationen und Service*

- Servicecenter als Anlaufstelle
- Informationsmaterialien
- Webseiten

### ► *Elektronischer Injektor*

- vorprogrammierte Dosiseinstellung
- Display führt durch die Injektion
- Kalenderfunktion für Therapieverlauf
- Persönliche Bedarfseinstellungen (unter anderem Injektionstiefe, -dauer und -geschwindigkeit)
- Automatischer Nadeleinzug
- Hochladen der Injektionsdaten in Adhärenz-Datenbank möglich

### ► *Unterstützung durch Patientenservice*

- Unterstützung des Patienten im vertrauten häuslichen Umfeld (angstfrei)
- Dem Patienten und seiner Familie im Umgang mit dem Injektionsgerät Sicherheit geben
- Bedarfsgerechte Begleitung durch die Therapie mit Empathie und Fachkenntnis

## FAZIT:

- ✚ Gute Adhärenz kann maßgeblich für den Therapieerfolg sein
- ✚ Grundlagen guter Therapietreue
  - Verständnis für die Erkrankung
  - weitreichende Informationen über die Therapie
  - für den Patienten geeignete Applikationsform, Unterstützung bei der Anwendung
  - Vielfältige Möglichkeiten zur Unterstützung
  - Information bei Bedarf
  - Moderne Injektionshilfen
  - Patientenprogramme

Dr. Bettina Ulzhöfer

Merck Serono GmbH |

Head Medical Information

Biopharma Germany | Medical Affairs

[bettina.ulzhoefer@merckgroup.com](mailto:bettina.ulzhoefer@merckgroup.com)

## **Chronisch entzündliche Darmerkrankungen (CED): Was können Medikamente leisten und welchen Wert hat die Eltern-Selbsthilfe?**

Von Jan de Laffolie

Chronisch entzündliche Darmerkrankungen (CED) im Kindesalter sind Erkrankungen, die sich mit autoimmunologischer Entzündung im Darm, aber auch in anderen Geweben des Körpers manifestiert. Die Inzidenz wird mit etwa 5 – 11 / 100.000 Kinder und Jugendliche angegeben, also etwa 15.000 pädiatrische Patienten für Deutschland. Etwa 20% aller Patienten erhalten ihre Diagnose vor dem 20. Geburtstag. Die Häufigkeit des Auftretens wird weltweit als zunehmend angesehen.

Die beiden **Hauptformen** sind der sogenannte **Morbus Crohn** und die **Colitis Ulcerosa**. Es ist bekannt, dass bei Manifestation im Kindesalter durchschnittlich ausgeprägtere Befallsmuster vorherrschen.

### **Folgeerkrankungen, Begleiterscheinungen und Nebenwirkungen**

Die Bedeutung für den Patienten und seine Familie ergibt sich aus der Gefährdung wichtiger Entwicklungsziele im Kindes- und Jugendlichenalter durch die Erkrankung, Folgeerkrankungen und Begleiterscheinungen sowie die Therapie.

**Diese Entwicklungsziele beziehen sich vor allem auf die Bereiche Wachstum und körperliche Entwicklung, die Pubertätsentwicklung und die psychosoziale Entwicklung.**

Die Beeinflussung dieser Aufgaben durch eine CED findet auf verschiedenen Wegen statt. So führt die chronische Entzündung selbst bereits über Entzündungsbotenstoffe und Veränderungen in Hormon-Mustern zu einer verzögerten Pubertätsentwicklung, jedoch auch über negative Einflüsse auf Wachstumshormon und Knochenwachstum sowie über den gastrointestinalen Befall mit den ausgesprochen häufigen Symptomen der Appetitlosigkeit mit Nahrungsverweigerung und Bauchschmerzen zu einer Unter- beziehungsweise Fehl-Ernährung, die ihrerseits die Entwicklung weiter hemmt.

**Auch unerwünschte Wirkungen der Therapie müssen an dieser Stelle berücksichtigt werden.** Bei einer zunehmenden Auswahl von Medikamenten müssen Therapien gefunden werden, die möglichst an die Entwicklungsphase des Kindes adaptiert eine gute Krankheitskontrolle gewährleisten und das Risiko für Übertherapie mit eventuell gefährlichen Nebenwirkungen oder das einer Untertherapie mit persistierender und dann unter Umständen erheblich schwerer zu behandelnden Entzündungsaktivität minimieren soll.

Ein Beispiel für solche (wenn möglich) zu vermeidenden Therapienebenwirkungen sind die häufig beobachteten **Steroidnebenwirkungen** wie Vollmondgesicht, Striae

distensae, Veränderungen des Erscheinungsbilds, Stimmungsschwankungen sowie Beeinflussungen von Blutdruck und Blutzuckerregulation.

### **Betreuung durch ein interdisziplinäres Team**

**Die Therapie der CED im Kindesalter basiert inzwischen auf der Betreuung in einem interdisziplinären Team**, welches zumindest einen Kindergastroenterologen, einen Kinderchirurgen, einen Kinderradiologen, eine Möglichkeit psychologischer oder psychosomatischer Betreuung, eine Ernährungsfachkraft sowie spezifisch geschultes Kinderpflege- und Endoskopiepersonal, aber auch Pädagogen und Sozialarbeiter umfassen sollte, sowie einer großen Anzahl von Medikamenten, Ernährungstherapie mit gezieltem Monitoring und gegebenenfalls Substitution von Defiziten.

Eine Möglichkeit zur familientherapeutischen Bearbeitung der entstehenden Probleme im Umgang mit der chronischen Erkrankung hat sich als sehr hilfreich erwiesen und kann in vielen Problemsituationen wesentlich zum therapeutischen Erfolg beitragen.

Die **Erstlinientherapie für Morbus Crohn im Kindes- und Jugendalter** ist häufig eine Therapie exklusiv enteraler Ernährung über 6-8 Wochen. Hierbei wird eine definierte Polymer- oder Elementar-Nahrung als einzige Ernährungsquelle eingesetzt. Ein wesentlicher **Vorteil** ist das geringe Nebenwirkungsprofil gerade in Hinblick auf das Wachstum und die körperliche Entwicklung sowie den Ernährungszustand und eine möglicherweise höhere Wahrscheinlichkeit, eine dauerhafte Remission, also klinischen „Ruhezustand“, zu erreichen. Ein **Nachteil** ist die schlechte Akzeptanz durch Patienten (dies wurde in Studien mit Erwachsenen sehr deutlich mit zum Teil erheblichen Abbrecher-Raten), da die geschmackliche Gestaltung sowie der Verzicht auf sonstige Nahrung vielen Patienten sehr schwer fällt.

Die in Studien vergleichbar gute Wirkung zu Glukokortikoiden kann nur erreicht werden bei entsprechend hoher Therapiecompliance und Unterstützung durch ernährungsspezifische und psychologische Fachkräfte sowie die Erfahrung in einem entsprechenden Behandlungszentrum inklusive Beratung der Patienten zum Beispiel auch über die **Möglichkeit einer Applikation über Sonde**. Eine unzureichende Arzt-Patienten-Familien-Beziehung ohne die essentiell wichtige gegenseitige Erwartung von Transparenz und Zuverlässigkeit, führt im Extrem dazu, dass der Arzt von einer Therapie ausgeht, die gar nicht durchgeführt wird und permanente Sorge und Angst um die korrekte Therapie und Arztwahl Familie und Patienten verunsichern.

Besonders wichtig ist hier ein positiv verstärkendes, also therapiegünstiges Verhalten förderndes Umfeld inklusive Familie, Freunde und stationäres sowie ambulantes Team.

### **Die Familie und die Elternsituation spielen eine wichtige Rolle**

**Eine wesentliche Aufgabe für den klinisch tätigen Kindergastroenterologen ist es, den Patienten und der Familie die Erkrankung sowie die Therapie mit allen**

**relevanten Informationen und den entstehenden Fragen im Prozess zu vermitteln und zu verdeutlichen.** Hierbei muss eine alters- und situationsangemessene Form der Vermittlung gewählt werden. Wichtige Bereiche können also schriftlich altersgerecht formulierte Informationen/Broschüren, wiederholte Termine zu zentral wichtigen Aspekten der Erkrankung und Therapie, gegebenenfalls Schulung und Information für mehrere Betreuungsumfelder (mehrere Familien bei getrennt lebenden Eltern, Schule, Betreuungseinrichtung, Wohneinrichtung), eine gezielte Berücksichtigung psychosozialer Besonderheiten und Einflussfaktoren auf Krankheitswahrnehmung und -verarbeitung, gegebenenfalls der Einsatz eines Übersetzers und/oder fremdsprachiger Unterlagen, gegebenenfalls mit Einsatz gezielter pädagogischer Techniken und so weiter sein.

**Auch bei anderen Therapieformen ist die Einbeziehung der Patientenfamilie ein jeweils zentral wichtiger Punkt.** So wird vor Beginn einer spezifischen Therapie aber auch im Verlauf immer wieder der Austausch zwischen Eltern, Patient und „Betreuerteam“ hinsichtlich der Wirkung und möglicher Nebenwirkungen, der zeitlichen Perspektive aber auch der notwendigen Untersuchungen und Behandlungssituationen eine wichtige Rolle spielen.

Wie bei allen chronischen Erkrankungen im Kindes- und Jugendalter sind hier besondere Anforderungen zu formulieren. Diese Anforderungen bezüglich der Gestaltung der Behandlung aber auch des häuslichen Umfelds stellen eine wichtige Voraussetzung für das gemeinsame Gelingen der Bearbeitung und Behandlung einer chronischen Erkrankung dar.

### **Was ist wichtig für den Therapie-Erfolg?**

Wenn Patient, Eltern oder Umfeld nicht eine Therapieform mittragen beziehungsweise im Krankheits- und Therapieprozess nicht als informierte Partner auftreten, hat dies **negative Folgen** in vieler Hinsicht.

So können durch mangelnde Einbeziehung der Patienten und des Umfelds (Patient Empowerment) **unzureichende Coping Strategien** im Umgang mit der Erkrankung entstehen, die langfristig zu psychosozialen Folgeproblemen heranwachsen können, gerade vor dem Hintergrund von Pubertäts- und Autonomiekonflikten.

Ein unzureichendes Verständnis der Wirkungen einer Therapie sowie der Anwendungsweise kann zu **Fehlanwendungen** führen (absichtliches/unabsichtliches Vergessen/Weglassen, Über- und Unterdosieren, falsche Medikamente zum falschen Zeitpunkt in ungeeigneter Art, „Ferien von der Krankheit“, kompensatorische Überdosierung bei erneuten Symptomen oder vor dem nächsten Kontrolltermin, Verwechseln von Dosierungen und Medikamenten). Hier besteht ein erhebliches Risiko gerade im Hinblick auf Krankheitskontrolle und dosisabhängige unerwünschte Wirkungen, aber zum Beispiel im Rahmen der Biologikatherapie auch immer die Frage, ob ein früherer Wirkverlust der Medikamente durch unzureichende Spiegel und / oder Ko-Medikation

und konsekutiver Entwicklung von Antikörpern gegen das Medikament eine Folge sein kann.

**Weiterhin muss die Familie auch Begleittherapien selbstständig mit durchführen, die Therapieüberwachung hinsichtlich Nebenwirkungen kann nicht nur ärztlich erfolgen.** So müssen Patienten mit Immunsuppression anders auf Krankheitssymptome wie hohes Fieber oder ähnliches reagieren, andere Impfeempfehlungen beachten, gegebenenfalls Einschränkungen in der Zusammenstellung ihrer Nahrung, ihrer Berufswahl, ihrer Freizeitgestaltung hinnehmen. Auch erneute Entzündungsaktivität muss früh von Patienten und Familie erkannt und rückgemeldet werden.

Die aktuellen Entwicklungen im Bereich der Therapie von CED zielen auf eine Anzahl neuer Medikamente im Kindes- und Jugendalter ab, die bei vielversprechendem Wirkprofil aber auch mit einer Reihe von unerwünschten Wirkungen verbunden werden und so neue strategische Fragen für die gemeinsame Entscheidung von Behandler-Team, Patient und Familie aufwerfen, in denen auch langfristige Überlegungen eine Rolle spielen müssen.

### Neue Therapie-Strategien und überregionale Patientenregister

Es werden Therapiestrategien untersucht, die gerade bei Morbus Crohn eine raschere Eskalation der immunmodulierenden Therapie bei bestimmten Patienten vorsehen. Dies impliziert, dass anhand von Registerdaten eine Stratifizierung der Patienten möglich wird, zum anderen, dass auch im Langzeitverlauf entsprechende Strategien nachverfolgt und überprüft werden.

The screenshot shows the header of the ÄQSI website with the logo of the Bundesärztekammer and the text 'Die Datenbank ärztlicher Qualitätssicherungsinitiativen'. Below this, it identifies the 'Nr. 83 Name: CEDATA-GPGE Register'. The 'Quellen' (Sources) section lists the information base, the name of the quality initiative (CEDATA-GPGE Register), and literature references including 'Buderus, Bürk und die AG CED der GPGE' and 'Die Arbeitsgruppe "CED" der Gesellschaft für Pädiatrische Bauchredner 2/2004, 70-72 Gastroenterologie und Ernährung (GPGE) stellt sich vor.' It also provides a link to the register's publications and the internet link to the initiative's website.

Das **Register für Kinder und Jugendliche mit chronisch entzündlichen Darmerkrankungen der Gesellschaft für pädiatrische Gastroenterologie und Ernährung (GPGE e.V.)** besteht seit 2004 und wurde zuletzt aktualisiert und mit einer neuen Plattform zur Datenverwaltung und Interaktion der beteiligten Meldezentren ausgestattet.

Im Rahmen einer solchen überregionalen Registerforschung sind neben Qualitätsverbesserung der Versorgung durch Datenerfas-

sung und Rückmeldung sowie Vergleiche der Ergebnisse auch Aspekte des besseren Verständnisses der Krankheit zur individualisierten Therapie und Aussagen zu Langzeitverläufen wichtig.

Für den einzelnen Patienten entsteht der Vorteil, dass er Anschluss an Leitlinienbasierte und durch strukturierte Qualitätssicherung gekennzeichnete Behandlungsstandards findet, therapiert durch motivierte und im Austausch mit nationalen und internationalen Kollegen befindliche Teams, auch in schwierigen Phasen wie zum Beispiel Transition.

**Eine Kooperation mit dem amerikanischen Register **ImproveCareNow** hat ein sehr positives Beispiel zu unserer Erfahrung mit Elternselbsthilfe beigetragen.** Man muss einschränkend bemerken, dass es grundsätzlich unterschiedliche Vergütungs- und Anreizstrukturen im amerikanischen Gesundheitswesen gibt, sowie seit

den frühen 2000er Jahren eine konzertierte Aktion der Regierung, Qualitätsverbesserung und Versorgungsforschung voranzubringen.

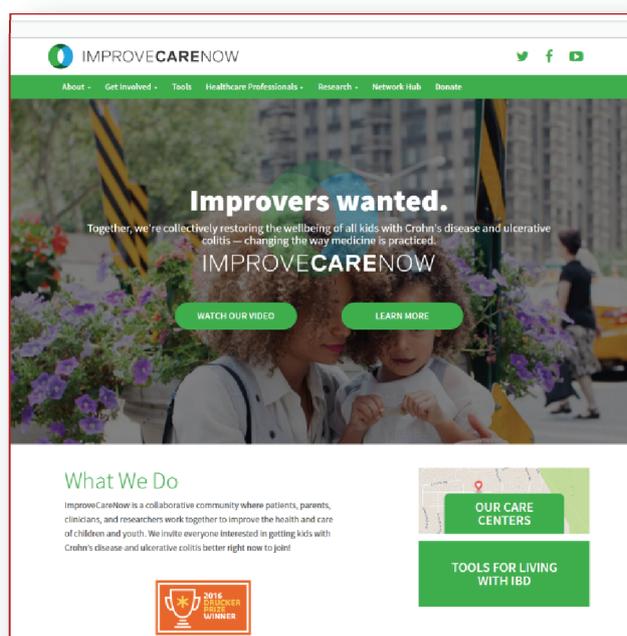
Daraus entwickelte sich als Flaggschiff das Register für chronisch kranke Kinder **ImproveCareNow** mit dem klaren Ziel der Qualitätsverbesserung der Versorgung von Kindern und Jugendlichen mit chronisch entzündlichen Darmerkrankungen (analog zu CEDATA GPGE).

Im Rahmen einer Analyse des Versorgungssystems wurden Schlüsselkomponenten identifiziert.

Neben vorbereiteten, proaktiven Teams, akkurater Diagnostik und Krankheitsklassifikation, angemessener Auswahl und Dosierung von Medikamenten sowie Überwachung einer adäquaten Ernährung und des Wachstums stehen dort die informierten, aktivierten und engagierten Patienten und Familien im Mittelpunkt.

Die Patienten nehmen mit Eltern an den Konferenzen dieses Multicenter Netzwerks teil, sie beteiligen sich an Diskussionen um Versorgungsstrukturen, Abläufe aber auch Forschungsfragen und Studien.

Zusätzlich entstehen lokale und regionale Eltern-Mentoren-Programme sowie gezielte Projektgruppen innerhalb der vernetzten Familien zum Beispiel zu den Themen „Start mit Infliximab“, „Endoskopievorbereitung“, „Umgang mit dem Stoma“ oder auch ein „Ratgeber für neue Patienten und deren Familien“. Diese Möglichkeiten zur Aktivierung und Einflussnahme durch Patienten und Eltern führen zu einem Selbstverständnis auch im Hinblick auf die Forschung als gemeinsames Lernen und Weiterentwickeln mit dem Ziel der Verbesserung der Versorgung.



Während Daten aus Registern wie ImproveCareNow und auch CEDATA GPGE zeigen, dass die Teilnahme am Register über die Zeit eine signifikante Verbesserung relevanter Outcome-Kriterien wie zum Beispiel der Anteil steroidfreier Remissionen führt, ist der Anteil der Patientenbeteiligung und der Aktivierung der Ressourcen des Umfelds wissenschaftlich nicht hinreichend untersucht. **Allerdings wird von allen beteiligten Zentren des ICN dieser Schritt als ein wesentlicher nächster Schritt zur weiteren Qualitätsverbesserung auch in Zukunft gesehen.** Obwohl in Deutschland noch nicht annähernd so umgesetzt, bleibt eine solche Beteiligung und auch Teilhabe am Prozess wünschenswert sowohl für Patienten und ihre Familien, die betreuenden Ärzte und Behandlungsteams als auch, gerade im Hinblick auf die hohen lebenslangen Krankheitskosten einer unzureichenden Versorgungsqualität, für das Gesundheitssystem insgesamt.

Dr. Jan de Laffolie

Kindergastroenterologe

Universitätsklinikum Gießen

[jan.delaffolie@paediat.med.uni-giessen.de](mailto:jan.delaffolie@paediat.med.uni-giessen.de)

## Arzneimittel für chronisch kranke Kinder

Wichtig, aber alleine nicht genug

Von Barbara Mühlfeld

### Was zeichnet ein Medikament aus, damit es als bestes Medikament für ein zum Beispiel chronisch asthmakrankes Kleinkind gelten kann?

- Gut wirksam (hohe Rezeptor-Affinität)
- Geringe Nebenwirkungen
- Einfach einzunehmen
- WANZ (**W**irtschaftlich, **a**ngemessen, **n**ützlich und **z**ugelassen)

Als gut wirksam gelten zum Beispiel beim Kleinkind mit Asthma die Wirkstoffe „*Mometason*“ und „*Fluticasonfuorat*“. Das Problem dabei ist aber, dass diese Wirkstoffe erst ab einem Alter von 18 beziehungsweise 12 Jahren zugelassen (und dann auch nur als Kombination) erhältlich sind. **Für Kleinkinder sind sie erst gar nicht zugelassen!** Erschwerend kommt hinzu, dass die Wirkstoffe *Mometason* und *Fluticason* teuer sind.

Ein weiterer Wirkstoff, das „*Beclomethason*“, wirkt bei asthmakranken Kleinkindern nicht besonders gut und ist zudem vom Preis her noch teurer.

Das „*Budesonid*“ als Lösung für das Inhaliergerät ist zwar ab dem 6. Monat zugelassen und damit grundsätzlich für Kleinkinder einsetzbar. Potentiell auftretende Nebenwirkungen können jedoch beträchtlich sein. Als Dosier-Aerosol ist es ab 6 Jahren zugelassen - schmeckt aber so scharf, dass kleine Kinder es entweder ablehnen oder, wenn sie es denn tapfer versuchen, nicht tief genug inhalieren.



Quelle: Budesonide - <http://de.remedy-info.com/budesonid.html>

#### Adrenalin-Autoinjektor



Quelle: [www.rettungsdienst.de](http://www.rettungsdienst.de)  
ALK JEXT Adrenalin-Autoinjektor (Foto: ALK-Abteilung)

Bei schwerwiegenden Allergieförmungen brauchen Kinder häufig **Adrenalin-Auto-Injektoren**, die im Notfall sogar lebenswichtig sein können. Doch auch hier besteht das Problem darin, dass die kleinste verfügbare Dosis erst ab einem Körpergewicht von 15 kg zugelassen ist, ein Messwert, der bei sehr kleinen Kindern zum Teil noch nicht erreicht wird.

**Aus alledem folgt, dass die jetzigen Regelungen häufig nicht greifen und insbesondere den Kleinkindern nicht gerecht werden.**

**Die Einschränkungen führen zu einer absurden Verordnungsrealität und lassen die **folgenden Maßnahmen** als dringend überfällig erscheinen:**

- Eine Zulassung für Kinder – und hier besonders für Kleinkinder – muss einen sehr viel höheren Anreiz bekommen, als dies heute bislang der Fall ist.
- Die Kassen sollten sich bei manchen restriktiven Regelungen, die als unsinnig scheinen und die Versorgung der betroffenen Kinder erheblich erschweren, großzügiger zeigen und ihre mitunter strikten Ablehnungsstrategien überdenken.
- Kinder- und Jugendärzte, die aufgrund der Versorgungsmisere gezwungen sind auf Off-Label-Präparate zurückzugreifen, sollten von Strafandrohungen verschont bleiben.

**So wichtig der zielgerichtete Einsatz wirksamer Medikamente ist, so eindeutig ist auch die Erkenntnis, dass Medikamente nicht alles sind.**

Um den Bedürfnissen von chronisch kranken und **insbesondere asthmakranken Kindern** gerecht zu werden, ist eine vernetzte und interdisziplinäre Versorgung in jeder Weise unabdingbar. Bei der Nahrungsmittelallergie beziehungsweise der Anaphylaxie spielen insbesondere Eltern, Großeltern, Geschwister, gegebenenfalls der Babysitter, Erzieherinnen und Eltern von Freunden eine tragende Rolle.

Beim **Diabetes Mellitus Typ I** kommen häufig noch Spezialambulanzen, die Selbsthilfeschulung, Sport, die Kinderkrankenpflege, Pädagogen und die Schule hinzu.

Beim **Autismus** dürfen beispielsweise die spezifische Frühförderung, die Logopädie, die Kinder- und Jugendpsychiatrie und gegebenenfalls auch die Einzelintegration nicht außer Acht gelassen werden.

Und bei der komplexen **Entwicklungsstörung oder Behinderung** spannt sich der Bogen vom Kinder- und Jugendarzt über die Klinik und das Sozialpädiatrische Zentrum bis hin zur Frühförderung, der Krankengymnastik, dem Kindergarten, den Behörden, Integrations-Fachkräften und natürlich insbesondere auch der **Selbsthilfe**.

Dabei geht es insbesondere darum, sämtliche Akteure so gut wie möglich miteinander in sinnvoller Weise zu **vernetzen** und damit insbesondere auch die Eltern als Spezialisten für ihr Kind zu stärken. Das klingt trivial. Wer aber sich in solchen interdisziplinären Netzwerken bewegt, weiß, wie schwierig es oft ist, überhaupt zu einer **gemeinsamen Sprache zu finden**. Eine hohe Lernbereitschaft aller Beteiligten ist hier unerlässlich.

**Um Kinder mit ihren Familien tatsächlich in dieser Weise gut einbinden und damit auch die Behandlung optimieren zu können, gelten die folgenden Regeln:**

1. Eltern müssen so gut wie möglich „empowert“ werden, sie müssen Wissen und Erfahrung zur Verfügung gestellt bekommen und auf Augenhöhe als wichtigste Partner und Akteure für die Versorgung ihrer Kinder wahrgenommen und wertgeschätzt werden.
2. Für die medikamentöse Versorgung müssen - bei berechtigten hohen Ansprüchen an die Sicherheit und Wirksamkeit von Medikamenten - Regelungen gefunden werden, die an der derzeitigen Praxis ausgerichtet sind.
3. Die Bereiche Kinder- und Jugendhilfe, Kindergarten und Schule, sowie der gesundheitliche Sektor (medizinische und medikamentöse Versorgung) müssen miteinander in Verbindung gebracht werden und dürfen nicht - wie bisher - weitgehend nebeneinander agieren.
4. Die Kooperation aller Beteiligten und die Inhalte, die für eine koordinierte und interdisziplinäre Versorgung kranker Kinder erforderlich ist, muss bereits in der Ausbildung und im Studium verbindlich Eingang finden.

Barbara Mühlfeld  
Fachärztin für Kinderheilkunde und Jugendmedizin  
Allergologie  
Pädiatrische Pneumologie  
Sozialpädiatrie