

Strategien zur Evidenzgenerierung in der Pädiatrie **Verbesserung der Gesundheitsversorgung von Kindern und Jugendlichen**

Hintergrund

Kinder werden in Deutschland sehr häufig mit für sie nicht zugelassenen Arzneimitteln behandelt („off-label use“). Der Prozentsatz liegt bei ca. 65-90%, abhängig vom Alter der Kinder und der Art der Krankheit. Je jünger die Kinder sind, desto höher ist der off-label use. Diese Situation ist dem Großteil der Bevölkerung nicht bewusst. Um diesen off-label use zu reduzieren, sind Studien und speziell für Kinder geeignete Darreichungsformen dringend notwendig.

Wir brauchen mehr Forschung und Entwicklung im Bereich Kinderarzneimittel!

Problem

Insbesondere die Durchführung klinischer Prüfungen zur Evidenzgenerierung in der Pädiatrie ist mit Schwierigkeiten verbunden, durch z.B.

- behördenseitiges Beharren auf der Einbeziehung sehr großer Probandenzahlen, was gerade für pädiatrische Prüfungen unrealistisch ist,
- eine geringe Bereitschaft der Eltern, ihre Kinder an einer Studie teilnehmen zu lassen,
- praxisferne Teilnahmebestimmungen (z.B. schriftliche Einwilligung beider Elternteile/Sorgeberechtigten erforderlich, wenig familienfreundliche Visitermine, großer bürokratischer Aufwand).

Lösungsvorschläge des BPI

1. Verstärkte Akzeptanz zusätzlicher Möglichkeiten der Evidenzgenerierung neben RCTs

- Anerkennung generierter Evidenz auf Basis der Verwendung gut geführter Register sowie von Pharmakovigilanz- und Literaturdaten
- Breite Anerkennung von wissenschaftlich weiterentwickelten Methoden zur Übertragung von Evidenz in der Untersuchung von Erwachsenen auf Kinder (z.B. Extrapolation oder andere statistische Verfahren), die helfen, die Zahl der klinischen Studien an Kindern auf das unbedingt erforderliche Maß zu reduzieren
- Anerkennung von Daten, die in Form von nicht-interventionellen Studien (NIS) bspw. bei Kinderärzten erfasst werden und bei denen den Patientenpräferenzen (z.B. kindgerechte Einnahmeschemata, Darreichungsformen) bei der Durchführung der Studien mit Kindern und Jugendlichen ein höherer Stellenwert eingeräumt wird

- Systematische Erfassung des off-label-Gebrauchs, um Sicherheitsdaten für später notwendige klinische Prüfungen zu generieren

2. Abbau praxisferner Teilnahmebestimmungen für Studien

- Förderung einer familienfreundlichen Planung von Studienbedingungen wie z.B. realisierbare Visitermine und -zeiten
- Erleichterungen bei der Einholung der Einwilligungserklärung der Eltern/Sorgeberechtigten

3. Öffentliche Förderung

- Konsequente Umsetzung des Artikels 39 der EU-Kinderarzneimittelverordnung, der die EU-Mitgliedsstaaten auffordert, Anreize zur Unterstützung von Forschung, Entwicklung und Verfügbarkeit von Arzneimitteln für die pädiatrische Verwendung zu schaffen.