



„Wir wissen, dass Humor wirkt, dass Clownserie wirkt. Gemeinsam mit anderen Organisationen können wir dazu beitragen, dass es ein kindergerechtes Gesundheitssystem gibt“

Mag. Ivana Bacanovic  
Geschäftsführerin Rote Nasen Clowndoctors



„Als Arzt hat man die Pflicht, einem Kind auch ein nicht zugelassenes Medikament anzubieten, wenn der Nutzen überwiegt. Der Grat, einerseits Kindern zu helfen, und sich andererseits nicht auf juristische Ängste zurückzuziehen, ist schmal“

Univ.-Prof. Dr. med. Thomas Müller  
Department Kinder- und Jugendheilkunde Kliniken Innsbruck



„Physio-, Logo-, Ergotherapie ... – viele Kinder mit chronischen Erkrankungen haben auch nach einem Spitalsaufenthalt großen Bedarf an Therapien, die nicht nur Medikamente betreffen. Auch das ist nach wie vor ein großer Kampf“

Dr. med. Barbara Valenta-Singer  
Österreichische Liga für Kinder- und Jugendgesundheit



„Es ist nicht so, dass man ein bestehendes Medikament nimmt, einfach mal die Dosierung ändert und Erdbeergeschmack dazu gibt. Arzneimittelentwicklung für Kinder ist komplex“

Dr. med. Barbara Valenta-Singer  
Fachärztin für Pharmakologie



„Es gibt auch schon etliche gute Projekte, unter anderem www.kindermedika.at, eine Internetplattform, wo Medikamente aufgelistet sind, die im Kindesalter eingesetzt werden. 250 von knapp 800 sind hier bereits abrufbar“

Prof. Dr. Christoph Male  
Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde in Wien

# Arzneimittel für Kinder – Herausforderung und Hoffnung

**Talk.** Kinder sind keine kleinen Erwachsenen. Das gilt umso mehr für die Entwicklung von Medikamenten für Säuglinge bis zum Jugendlichen. Ein komplexes Thema, das jüngst beim KURIER Gesundheitstalk diskutiert wurde

## PHARMAINDUSTRIE: Impulse – Innovationen – Patientenmehrwert

VON CORDULA PUCHWEIN UND FRANZ GRUBER (FOTOS)

2007 trat die EU-Verordnung für Kinderarzneimittel in Kraft und sollte wesentliche Veränderungen für die Entwicklung von Medikamenten für Kinder bringen. Dennoch ist Arzneimittelforschung für unter 18-Jährige ein Stiefkind. Warum das so ist und was es braucht, um diesen Bereich voranzutreiben, haben Fachleute dieser Tage beim KURIER & PHARMIG Gesundheitstalk diskutiert.

**KURIER:** Wie entstehen Arzneimittel für Kinder?

**Barbara Valenta-Singer:** Sehr vereinfacht dargestellt, beginnt die Entwicklung nahezu jedes Arzneimittels bei Erwachsenen. Warum? Kinder sind eine besonders vulnerable Gruppe und schützenswert. Gleichwohl gibt es Vorgaben der Behörden. Die Entwicklung eines Arzneimittels startet in Phase 1 mit einer Gruppe gesunder Erwachsener. Da geht es darum, Grundsätzliches zu klären: Wie verhält sich eine Arznei im Körper, wie wird sie vertragen, wie ausgeschieden? Dann geht man weiter in eine kleine Gruppe Patienten, um die exakte Dosierung zu finden. Dann folgt die große Phase 3. Erst hier wird eine Neuentwicklung an einer repräsentativen Gruppe getestet.

**Wie geht es weiter?**

**Barbara Valenta-Singer:** Die Erforschung von Arzneien für Kinder schließt erst dann an, wenn genügend Daten bei Erwachsenen gesammelt wurden, also nach Phase 3. Das ist frühestens nach sechs bis acht Jahren. Erst dann könnte man bei Kindern beginnen und da

wiederum mit Phase 2 und Phase 3 fortsetzen. Wichtig ist auch die Wahl der Darreichungsform für Kinder. Als Erwachsener kann man Tabletten gut schlucken, aber ein zweijähriges Kind hat vielleicht ein Problem damit. Es ist also nicht so, dass man einfach ein bestehendes Medikament hernimmt, die Dosierung ändert, Erdbeergeschmack hinzufügt und fertig. Arzneimittelentwicklung für Kinder ist extrem komplex.

**Wie stehen Familien dem gegenüber?**

**Caroline Culen:** Unterschiedlich. Bei Kindern mit angeborenen chronischen oder seltenen Erkrankungen gibt es so gut wie immer einen Medikamentenbedarf. Da geht es um Heilung, um Linderung der Symptome und Schmerzen, immer wieder auch um Überlebenschancen. Diese Kinder und Jugendlichen leben in großer Sorge und Angst. Dem Gros der Familien ist es da oft egal, ob ein Medikament schon sehr gut getestet ist. Die Meisten sind dankbar, dass es überhaupt welche gibt. Diese Familien sind sehr daran interessiert, an Studien teilzunehmen, eventuell auch neue Präparate zu testen.

**Wie gewinnt man aber Kinder für Studien, die nicht todkrank sind?**

**Christoph Male:** Es hängt davon ab, wie groß der Leidensdruck ist. Dieser ist bei gesunden Kindern nicht so groß, um sofort an Studien teilzunehmen. Da ist es ungleich schwerer zu erklären, weshalb eine Medikamentenstudie wichtig sein kann – für das Kind oder auch für die Allgemeinheit. Diese Diskussion führen wir aktuell auch bei

## Die Teilnehmer

**Dr. Caroline Culen**  
Geschäftsführerin  
Österreichische Liga für Kinder- und Jugendgesundheit

**Univ.-Prof. Dr. Christoph Male**  
Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde, Abteilung für Pädiatrische Kardiologie

**Univ.-Prof. Dr. med. Thomas Müller**  
Direktor der Pädiatrie I am Department für Kinder- und Jugendheilkunde der Tiroler Universitätskliniken Innsbruck

**Mag. Ivana Bacanovic**  
Geschäftsführerin Rote Nasen Clowndoctors

**Dr. med. Barbara Valenta-Singer**  
Fachärztin für Pharmakologie

Beispiel verdeutlich das. Ein Kind bricht sich das Bein und muss operiert werden. Was braucht es nun an medikamentöser Unterstützung? Ein schmerzstillendes Mittel, vorbereitende Infusionen, ein Mittel für die Kurzzeitnarkose, vielleicht noch etwas in der Nachbehandlung. Der Arzt muss also die Entscheidung treffen: Verwende ich diese Medikamente jetzt und verlasse mich auf verfügbare Erfahrungswerte? Oder wie gehe ich sonst mit der Situation um? Handelt es sich hingegen um eine schwere chronische oder gar lebensbedrohliche Erkrankung, dann ist verständlicherweise die Erwartungshaltung oft eine andere. Viele Betroffene möchten die Behandlung durchaus gerne in Anspruch nehmen, aber es soll bitte im Vorfeld an jemandem anderen überprüft werden.

**Caroline Culen:** Diese Einstellung basiert auch darauf, dass wir in Österreich eine verhältnismäßig geringe Gesundheitskompetenz haben. Es gilt, das Wissen dazu in der österreichischen Bevölkerung zu vermehren und mehr Bewusstsein zu schaffen und damit auch Ängste zu nehmen. Dann könnte ich mir vorstellen, dass ein Umdenken den solidarischen und präventiven Gedanken in der Bevölkerung aktiviert.

**Thomas Müller:** Wenn wir aufklären, etwa in der Onkologie, wo praktisch 100 Prozent der Patienten in Studien sind, erschrecken die Eltern. Was, mein Kind ist ein Versuchskaninchen? Wir sagen dann immer: Es ist ein Vorteil, dass ihr Kind im Rahmen einer kontrollierten Studie behandelt wird. Hier wird bestmöglich auf die Nebenwirkungen geachtet, die Kinder exakt überwacht, im Gegensatz zu anderen kranken Kids, die in kei-

der Covid-Impfung für Kinder. Es ist stets ein Abwägen zwischen dem eigenen Vorteil und dem Gruppennutzen.

**Wer haftet dann?**

**Barbara Valenta-Singer:** Gerade bei Kinderarzneimitteln begeben sich behandelnde Ärzte teilweise auf sehr dünnes Eis, weil viele der Arzneimittel Off-Label verabreicht werden. Das bedeutet: Viele Medikamente sind für Kinder nicht zugelassen. Weshalb kann man sie aber trotzdem verwenden? Nun, weil es vielfach gute Erfahrungswerte gibt. Gerade in der Kinderheilkunde werden die Leitlinien-Vorgaben dazu sehr genau befolgt.

**Es werden also Medikamente verabreicht, die nie an Kindern getestet wurden?**

**Barbara Valenta-Singer:** Notwendigerweise. Folgendes

## Info

**Off-Label-Use**  
Der Begriff bezieht sich auf die Anwendung von Arzneimitteln außerhalb der Bedingungen ihrer Zulassung

**EU-Kinderarzneimittelverordnung**  
Trat 2007 in Kraft und besagt, dass Arzneimittel, für die ein Zulassungsgesuch wird, auch für Kinder geprüft und zugelassen werden müssen. Das sollte zu einer besseren und sichereren Versorgung von Minderjährigen führen. Einen Boom an Neuzulassungen für Kinder brachte es noch nicht



Warum gibt es zu wenige kindergerechte Medikamente? Was braucht es, um Forschung anzuregen und die Bevölkerung aufzuklären? Das diskutierten Fachleute jüngst beim KURIER-Gesundheitstalk



Gute Gesprächsbasis: Prof. Christoph Male und Dr. Caroline Culen



KURIER-Chefredakteurin Martina Salomon und Ivana Bacanovic



Prof. Dr. Thomas Müller und Mag. Ivana Bacanovic

ner Studie sind. In der Off-Label-Anwendung hat man immer große Verantwortung, auch aus juristischer Sicht. Auf der anderen Seite hat man als Arzt immer die Pflicht einem Kind auch ein nicht zugelassenes Medikament anzubieten, wenn im Einzelfall der Nutzen überwiegt. Der Grat, Kindern zu helfen einerseits und sich nicht auf juristische Ängste zurückzuziehen andererseits, ist sehr schmal.

**Ist man da in Amerika risikofreudiger?**

**Christoph Male:** Außerhalb der Zulassung zu behandeln, ist auch bei uns nicht verboten und gerade in der Kinderheilkunde eine klinische Notwendigkeit. Um beim Beispiel mit dem verunfallten Kind zu bleiben, wäre es ja eine Unmöglichkeit, dieses Kind nicht zu behandeln, nur weil die Arzneimittel nicht kindgerecht geprüft wurden. Gleichzeitig gibt es zu vielen Medikamenten gute Erfahrungsberichte und Studien, die Ärzte im Rahmen ihres beruflichen Alltags gesammelt und analysiert haben. Das ist ein großer Erfahrungsschatz.

**Caroline Culen:** In Hinblick auf den großen Bereich der Kinder- und Jugendpsychiatrie werden junge Patienten natürlich auch mit Antidepressiva und Neuroleptika behandelt. Auch da ist vieles Off-Label, aber auch da gibt es zu etlichen Medikamenten gute Er-

fahrungswerte. Es wäre ein großer Fehler, Kinder nicht damit zu behandeln.

**Wie interessant ist es für die Industrie, Arzneien für Kinder zu entwickeln?**

**Barbara Valenta-Singer:** Es war ein wichtiger Meilenstein, als in Europa der Paediatric Investigation Plan, kurz PIP genannt, eingeführt wurde. Er war eine Grundvoraussetzung, während die Erwachsenenstudien noch laufen, auch die Pläne für die Entwicklung für Kinder zu vereinbaren – und damit verbunden auch bestimmte Incentives anzubieten, wie die Verlängerung des Patentschutzes für ein Medikament.

Es ist ganz wichtig, dieses auch beizubehalten, denn eines muss man sich vor Augen halten: Es wird nicht möglich sein, für alle Arzneimittel, seien sie bereits vorhanden oder ob sie erst in der Zukunft entwickelt werden, diese auch in einer vernünftigen Zeit für Kinder zu entwickeln. Ob das für die Industrie interessant ist? Nun, ich sag' mal so: Es ist auf jeden Fall eine Herausforderung.

**Wie geht es Eltern mit todkranken Kindern?**  
**Ivana Bacanovic:** Aus Sicht der roten Nasen Clowndoctors kann ich berichten, dass durch Besuche unserer Clowns Kinder deutlich ruhiger und entspannter werden. Gesundheitsclownerie trägt

sehr zur Stressreduktion bei, auch bei den Eltern.

**Caroline Culen:** Wer einmal ein Kind gezittert hat, weiß, wie sehr der Lebensalltag auf den Kopf gestellt wird. Manchmal muss ein Elternteil sogar den Job aufgeben. Es gibt Geschwisterkinder, die auch betreut werden wollen. Möglicherweise werden auch die finanziellen Ressourcen knapp oder man lebt vielleicht mit einem Stigma, denn manche Erkrankungen haben auch einen gesellschaftlichen Makel. Mit all dem müssen Familien fertigwerden.

**Ivana Bacanovic:** Umso wichtiger ist der Part der Clowndoctors und das nicht nur hinsichtlich der psychisch-seelischen Seite, auch ganz konkret, was die Situation vor und während eines Eingriffes betrifft, sei es ein heikler Ver-

bandswechsel, etwa bei Schmetterlingskindern, eine Sedierung, Blutabnahme und Ähnliches. Durch die positive Beeinflussung benötigen Kinder weniger Schmerz- und Beruhigungsmittel und sie reagieren auch besser auf Behandlungen. Die Kunst der Gesundheitsclownerie trägt dazu bei, dass es bei kranken Kindern und Jugendlichen zu einer Entlastung kommt.

**Wo ist der größte Bedarf an Medikamenten?**

**Christoph Male:** Eine Gruppe betrifft seltene Erkrankungen. Zum Teil sind das Erkrankungen, deren Mechanismen man noch nicht so gut kennt und aufgrund dessen auch noch keine spezifischen Medikamente und somit auch keine Therapien entwickelt wurden. Andere Erkrankungen wiederum stehen in Zusammenhang mit bestimmten Al-

tersgruppen. Die Gruppe, die sich am meisten von Erwachsenen unterscheidet, sind Neu- und Frühgeborene. Selbst Medikamente, die für sehr kleine Kinder entwickelt und zugelassen sind, haben dennoch zu wenig Daten für die Gruppe der Frühgeborenen. Und es gibt auch sehr spezielle Erkrankungen, Kinder mit angeborenen Herzfehlern etwa. Auch da gibt es noch wenige spezifische Medikamente.

**Thomas Müller:** Es gibt etwa 5000 bis 7000 seltene Erkrankungen, 80 Prozent davon aufgrund eines Gendefektes. Das Ziel für Heilung wären Medikamente, die unter dem Begriff Gentherapie zusammenzufassen sind. Hier sind oft Kinder betroffen, deshalb muss die Forschung hier eigentlich bei Kindern beginnen, der Weg also umge-

kehrt werden – von der Forschung aus hin zur Therapie. Die PHARMIG ist hier ein wichtiger Partner. Um eine Krankheit zu verstehen, müssen wir von der Universität gemeinsam mit der Industrie neue Ansätze schaffen und Therapien entwickeln. Die Frage ist nur: Was ist die Gesellschaft bereit, dafür zu bezahlen?

**Ihr Wunsch an die Politik?**

**Thomas Müller:** Es muss ein Commitment der Politik geben, Forschung gezielt zu unterstützen, Anreize zu setzen, damit akademische Einrichtungen vermehrt neue Medikamente für Kinder entwickeln können.

**Christoph Male:** In Wahrheit benötigen wir mehr Ressourcen und eine Politik, die gegen dieses Defizit aktiv etwas unternimmt.

**Barbara Valenta-Singer:** Es braucht Aufklärung und Transparenz, finanzielle und strukturelle Unterstützung. Auch mehr Kinderärzte, damit mehr Zuwendung möglich ist. Denn das beste Medikament wird nur bedingt genutzt, wenn seitens der Ärzte nicht genug Zeit ist, da zu sein, zu erklären und zu begleiten.

Diese Serie erscheint in redaktioneller Unabhängigkeit mit finanzieller Unterstützung der PHARMIG.



PHARMIG, Verband der pharmazeutischen Industrie, und KURIER luden zum Gesundheitstalk vor Publikum im Raiffeisenforum in Wien