



Klinische Studien bei Kindern vor dem Hintergrund der neuen EU-Verordnung

Prof. Dr. Günter Henze, Kompetenznetz Pädiatrische Onkologie und Hämatologie

Leiter der Abteilung für Pädiatrie II mit Schwerpunkt Hämatologie und Onkologie, Charité - Universitätsmedizin Berlin

Zahlreiche Verordnungen von Medikamenten, die bei Kindern eingesetzt werden, sind für diese Altersgruppe nicht durch eine entsprechende Zulassung abgedeckt. In deutschen Arztpraxen beträgt der Anteil solcher Verordnungen etwa 13 Prozent, auf Kinderstationen wird er auf etwa 50 Prozent geschätzt, und auf Intensivstationen für Früh- und Neugeborene werden etwa 65 Prozent nicht zugelassene Medikamente eingesetzt.

In der Vergangenheit haben wir speziell für die Kinderonkologie, aber auch für die Pädiatrie allgemein wiederholt sowohl bei Politikern als auch bei Vertretern der Krankenkassen und der pharmazeutischen Industrie darauf hingewiesen, dass dieser Zustand der „Rechtslosigkeit“ dringend dadurch beseitigt werden muss, dass Medikamente, insbesondere auch solche, die bereits seit vielen Jahren im Gebrauch und für die Behandlung von Kindern mit Krebskrankheiten unverzichtbar sind und über die auch umfangreiche Erfahrungen und Publikationen zu Wirkungen und Nebenwirkungen vorliegen, zugelassen werden müssen.

Die neue EU-Verordnung soll nun eine Grundlage für die Zulassung von Medikamenten für Kinder schaffen. Die Verordnung ist daher grundsätzlich zu begrüßen. Sie zielt allerdings nur auf Medikamente ab, für die eine Neuzulassung beantragt wird oder für bereits zugelassene Arzneimittel, die noch durch ein Patent oder ein ergänzendes Schutzzertifikat geschützt sind. Nicht betroffen sind also gerade die genannten, lange im Gebrauch befindlichen Medikamente, die häufig bereits als Generika gehandelt werden, d.h. solche, für die kein Patentschutz mehr besteht.

Gerade in der Kinderonkologie hat sich gezeigt, dass Studien bei Kindern unerlässlich sind. Hierbei handelt es sich hauptsächlich um Therapieoptimierungsstudien, in denen aber in der Regel nicht einzelne Medikamente im Hinblick auf



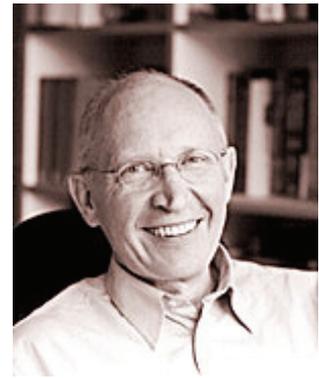
eine Zulassung getestet werden, sondern in denen ein Therapiekonzept geprüft wird. In Deutschland sind solche Studien regelmäßig und konsequent über Jahrzehnte durchgeführt worden und haben maßgeblich zu den auch im internationalen Vergleich hervorragenden Heilungsraten bei Krebskrankheiten im Kindes- und Jugendalter beigetragen.

Die Infrastruktur der deutschen Kinderonkologie ist daher grundsätzlich geeignet, um Studien im Sinne der neuen EU-Verordnung durchzuführen. Es fehlen allerdings die personellen Voraussetzungen dafür, den mit solchen Studien verbundenen Dokumentationsaufwand zu bewältigen; zum Teil bewegen wir uns auch gerade in Deutschland auf relativem Neuland, da insbesondere hier Phase-1-Studien bei Kindern bisher eher unüblich waren (Kinder als Testpersonen). Daher muss auch unter den Ärzten und den Betroffenen ein Bewusstsein dafür geschaffen werden, dass solche Studien mit entsprechenden Untersuchungen zur Pharmakovigilanz erforderlich sind, um sichere Medikamente zu entwickeln. Andererseits wird die EU-Verordnung nicht das Problem des „off-label-use“ der weiterhin für die Behandlung notwendigen etablierten Zytostatika und Supportivtherapeutika lösen. Hier müsste meines Erachtens ein Weg zu einer Nachzulassung aufgrund der vorhandenen und publizierten Daten gefunden werden.

Curriculum Vitae

Prof. Dr. med. Dr. h.c. Günter Henze

Leiter der Abteilung für Pädiatrie II mit Schwerpunkt Hämatologie
und Onkologie, Charité – Universitätsmedizin Berlin



Kontakt

Charité - Universitätsmedizin Berlin, CVK
Otto-Heubner-Centrum
für Kinder- und Jugendmedizin
Direktor der Klinik für Pädiatrie
m.S. Onkologie/Hämatologie
Augustenburger Platz 1
13353 Berlin

Beruflicher Werdegang

- 1965 - 1971 Studium der Medizin an der Freien Universität Berlin, Ärztliche Prüfung
- 1972 Approbation, Promotion
- 1972 - 1976 Assistent an der Kinderklinik des Städt. Rudolf-Virchow-Krankenhauses
- 1976 Facharzt für Kinderheilkunde durch die Ärztekammer Berlin
- Seit 1977 Tätigkeit an der Kinderklinik der Freien Universität Berlin in der Abteilung für Hämatologie und Onkologie
- 1981 Wissenschaftspreis der Kind-Philipp-Stiftung für Leukämieforschung
- 1982 Habilitation an der Medizinischen Fakultät der Freien Universität Berlin
- Seit 1983 Leiter der multizentrischen Studien ALL-REZ BFM 83, 85, 87, 90, 95 und 2000 zur Behandlung von Kindern mit Rezidiv einer akuten lymphoblastischen Leukämie
- 1985 C2-Professor für Kinderheilkunde auf Zeit, Kommissarische Leitung der Abteilung für Pädiatrie II mit Schwerpunkt Hämatologie und Onkologie der Kinderklinik der FU Berlin, Mitglied des Direktoriums der Kinderklinik
- 06.05.1988 Professor für Kinderheilkunde C3 auf Lebenszeit, Leiter der Abteilung für Pädiatrie II mit Schwerpunkt Hämatologie und Onkologie der Kinderklinik der FU Berlin
- 1992 Vorstandsmitglied der Internationalen Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie (SIOP)
- 1997 Ehrendoktor der Far Eastern State Medical University of Khabarovsk
- 1994 - 2000 Vorsitzender der Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie (GPOH)
- 1998 Fritz-Acker-Preis für das Jahr 1996 für Forschungsarbeiten über die Behandlung leukämiekranker Kinder und Jugendlicher nach einem Krankheitsrückfall
- 1998 - 2001 Präsident und Past-Präsident der Internationalen Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie (SIOP)

Seit 1999	Sprecher des Kompetenznetzes Pädiatrische Onkologie und Hämatologie für die Bundesrepublik Deutschland (gefördert vom BMBF)
2002 - 2006	Präsident und Past-Präsident der Internationalen Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie Europa (SIOP Europe)
2003	Auszeichnung für Verdienste um die Entwicklung der Partnerschaftsbeziehungen zwischen Berlin und Moskau, für die Hilfe für krebskranke Kinder sowie der medizinischen Ausbildung und Forschung
2004	Ernennung zum C4-Stiftungsprofessor

Mitgliedschaften und Funktionen

- Sprecher des Kompetenznetzes Pädiatrische Onkologie und Hämatologie
- Mitglied des wissenschaftlichen Beirats der GPOH
- Vorsitzender des Kuratoriums der Deutschen Kinderkrebsstiftung
- Deutsche José-Carreras-Leukämienstiftung e.V.
(Mitglied des wiss. Beirats und Projektausschusses)
- Deutsche Krebsgesellschaft e.V.
- Berliner Medizinische Gesellschaft
- Deutsche Gesellschaft für Kinderheilkunde und Jugendmedizin
- Leiter der internationalen Studien ALL-REZ BFM zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen mit Rezidiven einer akuten lymphoblastischen Leukämie