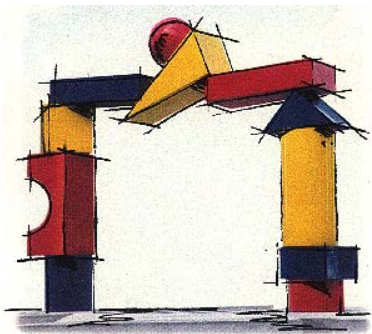


Klinische Studien mit Kindern - und Jugendlichen



Univ.-Prof. Dr. Fred Zepp
Kinderklinik und Kinderpoliklinik
Johannes Gutenberg-Universität Mainz



Kinder als therapeutische Waisenkinder

Je jünger Kinder sind, umso häufiger werden
Medikamente ohne klinische Prüfung eingesetzt:

off-label use bei

- **ca. 90%** der Früh-/Neugeborenen-Intensivmedizin
- **ca. 70%** der Kinder auf pädiat. Intensivstationen
- **ca. 40%** der Kinder in allgemeinärztl. Behandlung

„Pediatric disclaimers“ (Haftungsausschlüsse) von
Seiten der Hersteller finden sich schon seit 1960

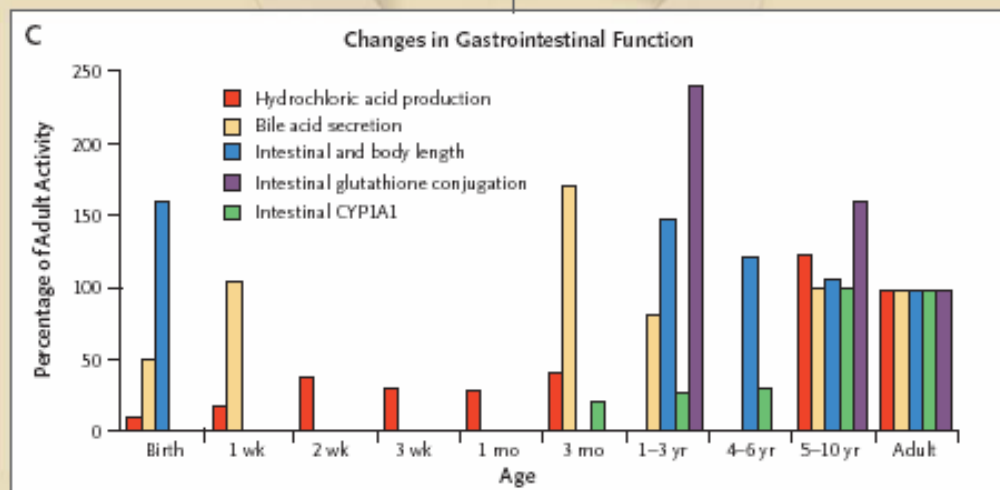
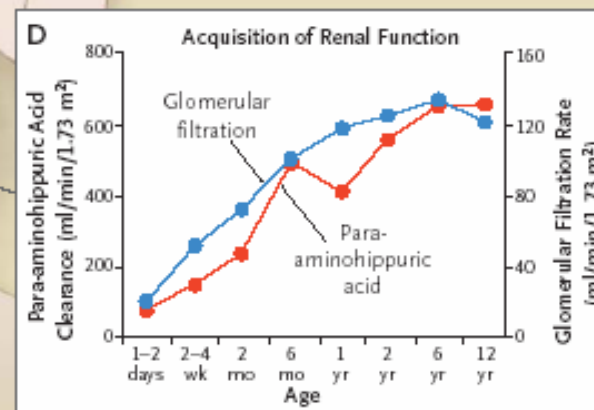
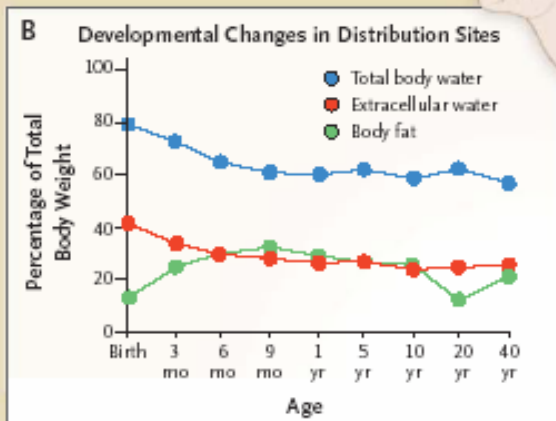
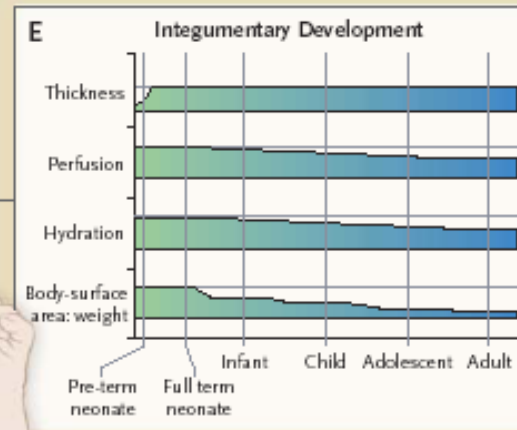
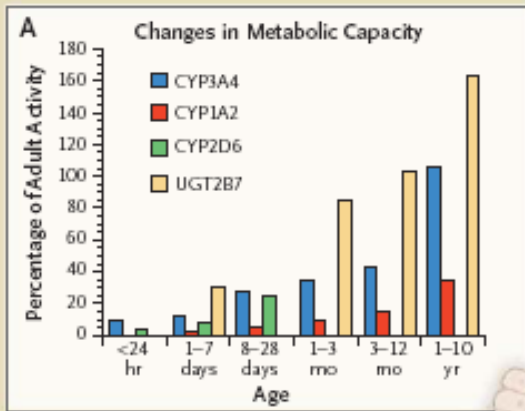
A child is playing in a ball pit filled with colorful balls (red, blue, green, yellow, white). The child's hands and part of their body are visible among the balls. The background is a blurred indoor setting.

Besonderheiten und Grenzen der klinischen Prüfung bei Kindern

Physiologie des Kindes und Jugendlichen

Kinder sind keine kleinen Erwachsenen

- Inkomplette ZNS-Entwicklung
- Ungünstiges Körperoberflächen-Volumen-Verhältnis
- Hoher Anteil Körperflüssigkeit
- Organ-"Unreife": Lunge, Gastro-Intestinaltrakt, Niere, Herz-Kreislauf, Immunsystem



Developmental Pharmacology —
 Drug Disposition, Action, and
 Therapy in Infants and Children
 Gregory L. Kearns et al.
 N Engl J Med 2003;349:1157-67.

Krankheitslehre der Kinder- und Jugendmedizin

Pädiatrische Krankheitsbilder

- treten z.T. nur in bestimmten Altersgruppen auf
- betreffen häufig nur wenige Individuen
- sind vielfach genetisch determiniert

Chancen und Grenzen der klinischen Prüfung bei Kindern

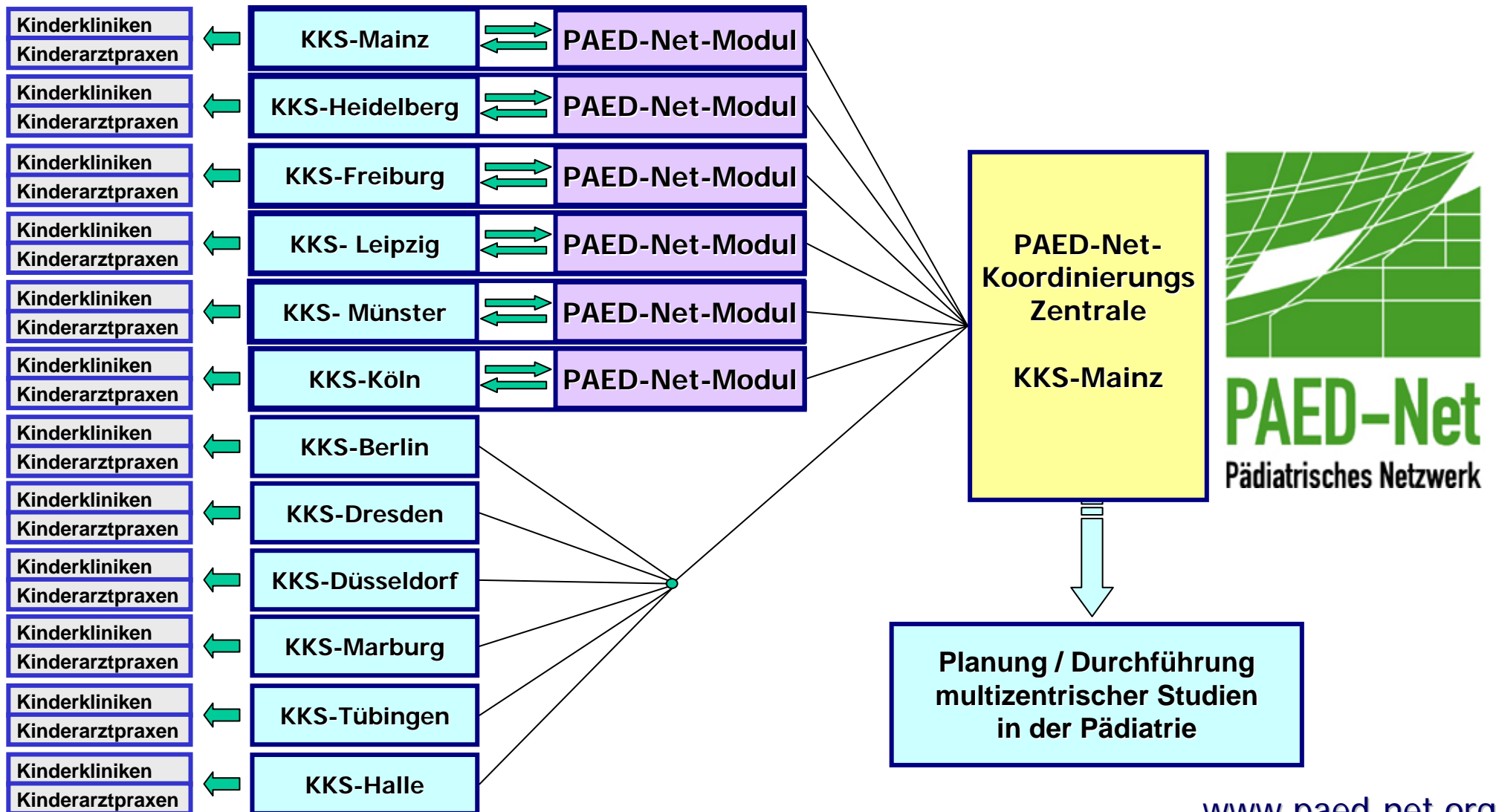
- Mehr als 5.000 seltene, z.T. bevorzugt das Kindesalter betreffende Erkrankungen ("**Orphan Diseases**")
- Limitiertes Marktpotential pädiatrischer Applikationen
- Hohes Entwicklungsrisiko insbesondere bei kleinen Fallzahlen ("**Orphan Drugs**")

Chancen aus Sicht der Pädiatrie

Infrastruktur und Qualitätssicherung

- Einrichtung einer Infrastruktur zur Durchführung klinischer Studien bei Kindern und Jugendlichen (geschultes, zertifiziertes Personal, pädiatrische klinische Pharmakologie, professionelles Datenmanagement)
- (Inter-) Nationale Netzwerkstrukturen für multizentrische klinische Studien

Pädiatrisches Netzwerk im KKS



PAED-Net: Leistungsspektrum



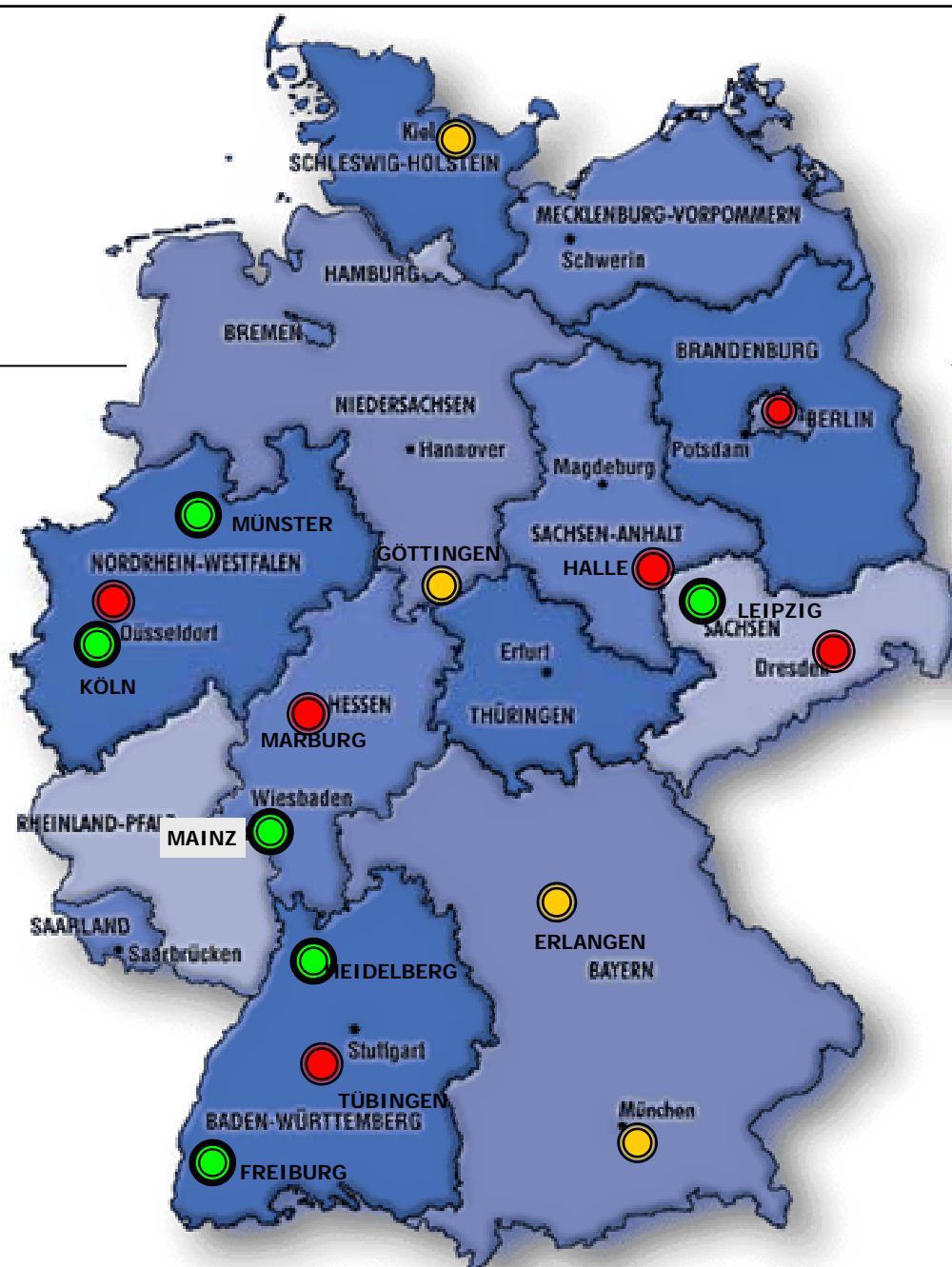
Interdisziplinäres Team

- Klinische Pharmakologie
- Medizinische Biometrie und Informatik
- Klinisches Datenmanagement
- Gesundheits- und Pharmakoökonomie
- Klinische Epidemiologie
- Medizin. Fachkompetenz in allen Disziplinen
- Zertifizierte Studienassistenz
- Zertifizierte Monitore



PAED-Net

Pädiatrisches Netzwerk



PAED-Net : 6 Zentren mit Koordinationszentrale in MAINZ



KKS : 6 + 6 Zentren



Kooperierende Kliniken z.Zt. 4, kontin. wachsend

> 100 Kinderarztpraxen in der gesamten Bundesrepublik

PAED-Net

Studien seit 9/2002



- Abgeschlossene Studien an PAED-Net Standorten: 76
- Multizentrische Studien innerhalb des Netzwerks: 25
 - 14 Vakzine Studien
 - 2 Gastroenterologische Studien
 - 3 Anti-Infektiva-Studien
 - 2 Endokrinologische Studien (Wachstumsh./Diabetes m.)
 - 1 Analgosedativa-Studie in Neonatologie
 - 3 Studien (Neurologie, Gastroenterologie) in Vorbereitung
- Eine multizentrische epidemiologische Studie (PID-ARI-net)

Änderungsbedarf seitens des Gesetzgebers

- Aufklärung der Öffentlichkeit über Notwendigkeit klinischer Studien im Kindes- und Jugendalter
- Beseitigung von bürokratischen/formalen Hürden durch Gesetzesnovellierung
- Aufforderung der Industrie, neue Arzneimittel mit potentiellm Nutzen für Kinder zu prüfen
- Förderung der Durchführung von Arzneimittelprüfungen im Kindes- und Jugendalter durch Schaffung von Incentives (z.B. Patentverlängerung wie in den USA)
- Einbindung der Kostenträger (Kassen) in die Verantwortlichkeit zur Sicherung des medizinischen Fortschritts für Kinder und Jugendliche

Änderungsbedarf seitens des Gesetzgebers

- Unterstützung der Planung und Durchführung von versorgungsrelevanten, kommerziell nicht oder wenig attraktiven Therapieoptimierungsstudien (Investigator Initiated Trials)
- Unterstützung von Forschungsinstitutionen in der Übernahme von Sponsorfunktion bei der Durchführung von AMG-Studien
- Aufbau eines Pharmakovigilanznetzwerkes zur Überwachung von Arzneimittelnebenwirkungen
- Förderung der Weiterentwicklung und Institutionalisierung eines Pädiatrischen Netzwerkes zur Planung und Durchführung von multizentrischen klinischen Studien im Kindes- und Jugendalter, z.B. aufbauend auf der PAED-Net-Initiative.

Klinische Studien mit Kindern sind **unverzichtbar**

Denn Kinder haben ein Recht auf ...

- Arzneimittel, die sich altersentsprechend als sicher und wirksam erwiesen haben
- Behandlung mit den besten zur Verfügung stehenden Arzneimitteln
- Medizinischen Fortschritt