



# Klinische Prüfungen: Sichere Arzneimittel für Kinder und Jugendliche

## Arzneimittelstudien mit Kindern und Jugendlichen – warum muss das sein?

Sehr geehrte Eltern, liebe Kinder und Jugendliche,

sicher kennen Sie/kennt Ihr alle den Satz „Zu Risiken oder Nebenwirkungen fragen Sie Ihren Arzt oder Apotheker“. Aber was ist, wenn der Arzt oder Apotheker Ihnen/Euch nicht weiterhelfen kann, weil er gar nicht über die notwendigen Informationen verfügt?

Leider sind viele Arzneimittel aufgrund fehlender Daten nicht für Kinder oder Jugendliche zugelassen. Dies führt dazu, dass diese Patienten mit Arzneimitteln behandelt werden müssen, die eigentlich für diese Altersgruppe gar nicht ausreichend getestet sind. Man spricht von „Anwendung außerhalb der Zulassung“ oder englisch von „Off-Label-Use“. Es besteht dann ein erhöhtes Risiko, Nebenwirkungen zu erleiden oder keine ausreichende Wirkung zu erzielen.

Für uns, das sind die auf diesem Infoblatt dargestellten Institutionen, ist es ein wichtiges Ziel, dafür zu sorgen, dass Kindern und Jugendlichen zugelassene Arzneimittel – das bedeutet ausreichend für Kinder und Jugendliche getestete Arzneimittel – zur Verfügung stehen, und damit die Arzneimittelsicherheit für diese Altersgruppe zu verbessern. Arzneimittelstudien mit Kindern und Jugendlichen halten wir für ein wesentliches und notwendiges Instrument, um dieses Ziel zu erreichen. In diesem Flyer gehen wir auf einige häufig gestellte Fragen ein.

## Was ist eine Arzneimittelstudie?

Eine Arzneimittelstudie oder auch klinische Prüfung ist jede am Menschen durchgeführte Untersuchung, die dazu bestimmt ist, die Wirkungen von Arzneimitteln mit dem Ziel zu erforschen, sich von der Unbedenklichkeit und Wirksamkeit des Arzneimittels zu überzeugen.

## Warum müssen solche Studien auch an Kindern und Jugendlichen durchgeführt werden?

Ein bekannter Satz in der Kinderheilkunde und Jugendmedizin lautet: „Kinder sind keine kleinen Erwachsenen“. Einige Prozesse, wie zum Beispiel das Wachstum oder auch die Pubertätsentwicklung sind bei Erwachsenen schon abgeschlossen. Der Einfluss von Arzneimitteln auf die körperliche und geistige Entwicklung kann somit nicht an Erwachsenen, sondern nur an Kindern und Jugendlichen erforscht werden.

Arzneimittel können bei Kindern und Jugendlichen auch anders wirken als bei Erwachsenen. Manche Erkrankungen kommen bei Erwachsenen nicht vor.

Um sicherzustellen, dass ein Arzneimittel bei Kindern sicher und wirksam ist, muss es deshalb in der Regel auch in dieser Patientengruppe getestet werden.

## Ist die Teilnahme an einer klinischen Studie nicht gefährlicher, als die Anwendung eines bereits auf dem Markt befindlichen Arzneimittels, das schon für Erwachsene zugelassen ist (Off-Label-Use)?

Der Off-Label-Einsatz von Arzneimitteln ist notwendig, wenn es kein für Kinder zugelassenes Arzneimittel gibt, andererseits aber eine Behandlung durchgeführt werden muss. Die verabreichte Dosis wird meist an das geringere Körpergewicht angepasst, ohne auf den im Vergleich zum Erwachsenen andersartigen Stoffwechsel eingehen zu können.

Genauere Daten zur optimalen Dosis fehlen häufig. Teilweise werden die Darreichungsformen der Arzneimittel verändert, so werden häufig Tabletten zerkleinert und Teilmengen verabreicht. Dies führt zu einem erhöhten Risiko für die Patienten.

Auch in klinischen Studien werden Arzneimittel eingesetzt, die noch nicht für Kinder oder Jugendliche zugelassen sind. Diese Studien folgen einem mit den Behörden abgestimmten Prüfplan in speziell ausgebildeten Institutionen. Bevor diese Studien an Kindern oder Jugendlichen durchgeführt werden dürfen, werden alle verfügbaren Daten zur Wirksamkeit und Sicherheit zu diesem Arzneimittel (zum Beispiel aus den Zulassungsstudien an Erwachsenen) von uns bewertet. Außerdem werden speziell auf die Kinder und Jugendlichen abgestimmte Dosen und Arzneimittelzubereitungen, z.B. Säfte oder Tropfen, eingesetzt.

Damit mögliche unerwünschte Reaktionen (Nebenwirkungen) auf das Arzneimittel bei Kindern sofort erkannt werden können, werden die Studienteilnehmer in diesen Studien durch speziell ausgebildete Ärzte betreut und sehr streng überwacht.

Dies ist ein ganz wesentlicher Unterschied zum Off-Label-Use, wo eine derartige strikte Überwachung so nicht durchgeführt werden kann.

### **Darf eine klinische Studie gegen meinen Willen durchgeführt werden und was passiert, wenn ich die Studie vorzeitig beenden möchte?**

Eine klinische Studie darf nicht ohne Einwilligung oder gegen den Willen des Teilnehmenden oder des gesetzlichen Vertreters durchgeführt werden.

Dies gilt auch für Kinder und Jugendliche, die je nach Lebensalter und Entwicklungsstand ihre Zustimmung zu der klinischen Studie geben müssen. Das Einverständnis kann jederzeit widerrufen werden, ohne dass damit Nachteile für die weitere Behandlung verbunden sind.

### **Wie wird dafür gesorgt, dass ich/mein Kind in einer klinischen Studie sicher bin/ist?**

Manche Studienteilnehmer und Eltern haben Angst, dass sie selbst oder ihr Kind in einer klinischen Studie unkalkulierbaren Risiken ausgesetzt werden. Klinische Studien müssen aber von den Ethikkommissionen und den Bundesoberbehörden – das sind wir, Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) und Paul-Ehrlich-Institut (PEI) – genehmigt werden.

Studien an Kindern und Jugendlichen dürfen nur durchgeführt werden, wenn sie unbedingt erforderlich sind, mit geringen Belastungen und Risiken einhergehen und nicht durch Studien an Erwachsenen ersetzt werden können. Schwerwiegende Nebenwirkungen

müssen den Ethikkommissionen und den Bundesoberbehörden gemeldet werden. Falls notwendig, können Maßnahmen erlassen werden, die das Risiko weiter vermindern oder die Studie kann gestoppt werden.

### **Kann ich/mein Kind in einer Studie ein wirkstofffreies Arzneimittel (Placebo) bekommen?**

In manchen Studien ist es nötig, dass eine Gruppe der Teilnehmenden ein identisch aussehendes wirkstofffreies Präparat, ein sogenanntes Placebo, erhält und nicht das zu untersuchende Arzneimittel. Dies geschieht, um psychologische Effekte zu kontrollieren und die wahre Wirkung des Prüfpräparates besser einschätzen zu können.

Diese placebo-kontrollierten Studien dürfen nur durchgeführt werden, wenn das Risiko vertretbar ist. Natürlich darf keinem Kind oder Jugendlichen in einer Studie ein lebenswichtiges Arzneimittel vorenthalten werden. Häufig wird zusätzlich eine unterstützende Therapie durchgeführt, die dem jeweiligen Behandlungsstandard entspricht. Wie in allen klinischen Studien erfolgt eine strikte Überwachung der Wirkung und Nebenwirkung der Therapie. Wenn nötig, kann auch eine solche Studie jederzeit beendet werden.

### **Herausgeber**

Das Bundesministerium für Gesundheit ist die oberste Bundesbehörde für das Gesundheitswesen in Deutschland. Es dient der Sicherung und Weiterentwicklung der Qualität u.a. bei der Gesundheitsvorsorge, Pflege, Krankenversicherung, Arzneimittelversorgung und europäischen und internationalen Gesundheitspolitik.  
[www.bmg.bund.de](http://www.bmg.bund.de)

Das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) ist eine Bundesoberbehörde im Geschäftsbereich des Bundesministeriums für Gesundheit. Hauptaufgabe des BfArM ist die Zulassung und Überwachung der Sicherheit von Arzneimitteln sowie die Genehmigung klinischer Prüfungen.  
[www.bfarm.de](http://www.bfarm.de)

Das Paul-Ehrlich-Institut (PEI) ist eine Bundesoberbehörde im Geschäftsbereich des Bundesministeriums für Gesundheit. Das PEI ist u.a. zuständig für die Zulassung und staatliche Freigabe von Impfstoffen und biomedizinischen Arzneimitteln und immunologischer Tier-Arzneimitteln im Rahmen der klinischen Entwicklung, Zulassung sowie für die Überwachung der Arzneimittelsicherheit.  
[www.pei.de](http://www.pei.de)