

Kinderklinik der  
Universität München



PaedRegCliNet e.V.



# Symposium

Donnerstag, 29. September 2011

## Arzneimittelforschung in der Pädiatrie

Erkenntnisse aus dem „off-label-use“ als  
Chance für die Arzneimittelforschung mit  
Kindern

Großer Hörsaal der Universitäts-Kinderklinik  
Lindwurmstraße 4, 80337 München

Donnerstag, 29. September 2011,  
Beginn: 10:30 Uhr (Ende gegen 16:30 Uhr)

Prof. Dr. med. Dr. sci. nat. Christoph Klein  
Prof. Dr. med. Dr. rer. nat. Dr. h. c. mult. Dieter Adam

## Vorwort

50 bis 70% der bei Kindern verordneten Arzneimittel werden immer noch außerhalb der Zulassung, d.h. „off label“ eingesetzt. Bei onkologischen Erkrankungen tendiert diese Zahl teilweise sogar gegen 100%. Die seit Januar 2007 gültige EU Gesetzgebung soll diesen Missstand beheben. Pharmaunternehmen, die ein neues Medikament in den Markt einführen wollen, sind seit dem 26. Juli 2008 verbindlich verpflichtet, den Zulassungsbehörden einen sogenannten PIP („Paediatric Investigational Plan“) vorzulegen, der von einer Kommission der EMA genehmigt sein muss.

In den Krankenakten der Kinderkliniken sind die Daten zu Dosierung, Therapiedauer und klinischem Verlauf einschließlich der Heilungsraten und Nebenwirkungen der „off label“ angewandten Arzneimittel in der Regel sorgfältig dokumentiert. Diese in den Archiven der Kliniken ungenutzt liegenden Daten werden nur in den seltensten Fällen ausgewertet und sind weder der Ärzteschaft noch den Zulassungsbehörden für eine klinisch-pharmakologische Be- und Auswertung zugänglich.

Zur Erhöhung der Patientensicherheit in allen pädiatrischen Altersstufen, aber auch zum Erkenntnisgewinn für die künftige Forschung mit Arzneimitteln im Kindesalter wurde das PaedRegCliNet ins Leben gerufen, um die in den Klinikarchiven zu in der Pädiatrie „off label“ eingesetzten Arzneimitteln vorhandenen Daten zu dokumentieren, auszuwerten und verfügbar zu machen.

PaedRegCliNet hat sich darüber hinaus zur Aufgabe gestellt, wissenschaftliche und patientenorientierte Methoden für die Kinderheilkunde zu entwickeln und die in deutschen Kinderkliniken vorhandenen Daten aus dem „Off-Label-Use“ so aufzubereiten, dass damit klinische Studien an Kindern künftig frühzeitiger, risikoärmer und kostengünstiger durchgeführt werden können. Damit dient PaedRegCliNet in besonderem Maße dem Patientenschutz und der Schaffung einheitlicher Qualitätsstandards in der pädiatrischen klinischen Forschung.

Im Rahmen dieses Symposiums werden Repräsentanten von Zulassungsbehörden, Industrie, Dienstleistern und Kliniken die Anforderungen an eine Arzneimittelzulassung, das erforderliche Regelwerk und die nötigen ärztlichen und ethischen Maßnahmen zu den verschiedenen Altersstufen jeweils aus ihrer Sicht darlegen. Der besondere Schwerpunkt liegt bei diesem 3. Symposium auf der Fragestellung, ob Daten aus dem off label use auch in Zulassungsüberlegungen eingehen können. Alle Interessierten, die das Ziel haben, sich mit den komplexen Verfahrensabläufen vertraut zu machen sind herzlich eingeladen, Lösungsansätze zu diskutieren und zu finden - zum Wohle der kleinen Patienten.



## **Klinische Forschung in der Pädiatrie: Erkenntnisse aus dem „off-label-use“ als Chance für die Arzneimittelforschung mit Kindern**

10:00 Uhr: Grußwort/Einführung : Prof. Christoph Klein, Prof. Dieter Adam

### **Gesetzliche Rahmenbedingungen, juristische Aspekte und politische Herausforderungen**

10:30 Uhr Off-label-use als therapeutische Grenzverschiebung in der Pädiatrie: Ethische Anmerkungen zu Nutzen und Risiken  
Referent: Univ.-Prof. Dr. Norbert W. Paul, M. A.

11:00 Uhr: Akzeptanz von off-label Daten im Rahmen von PIP-Entwicklungsprogrammen  
Referent: Dr. Ulrike Hermes, BfArM (*angefragt*)

11:30 Uhr: Juristische Aspekte des off-label-use im Kindesalter  
Referent: Dr.Uwe Fröhlich, Rechtsanwalt

12:00 Uhr: Regelung des off-label-use durch den Gemeinsamen Bundesausschuss  
Referentin: Petra Nies

12:30 Uhr: Mittagspause

### **Klinikalltag im Spannungsfeld medizinischer Notwendigkeiten und ethischer Fragestellungen**

13:30 Uhr: Off-label-use im Kontext von Regulatory Affairs:  
Regulatorische Aspekte zur Entwicklung von Arzneimitteln zur Anwendung im Kindesalter  
Referent: Herbert Heuberger

14:00 Uhr: Off-label-use in Klinik und Praxis: Gibt es (k)eine Alternative?  
Referenten: PD Dr. Lutz T. Weber und PD Dr. Christian Plank

15:00 Uhr: Podiumsdiskussion  
Zusammenfassung und Gespräch  
mit Prof. Dieter Adam / Prof. Christoph Klein

## Referenten:

Prof. Dr. Dr. Dr. h. c. mult. Dieter Adam  
1. Vorsitzender der PaedRegCliNet e.V., München

Dr. Uwe Fröhlich  
Rechtsanwalt, München

Dr. Ulrike Hermes (angefragt)  
Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM), Bonn

Herbert Heuberger,  
Director Regulatory Affairs and Pharmaceutical Quality Assurance,  
MSD SHARP & DOHME GmbH, Haar

Prof. Dr. Dr. Christoph Klein,  
Direktor der Universitäts-Kinderklinik, München

Petra Nies  
stellv. Abteilungsleiterin, Abteilung Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses, Berlin

Univ.-Prof. Dr. Norbert W. Paul, M. A.  
Direktor des Instituts für Geschichte, Theorie und Ethik der Medizin, Universität Mainz

PD Dr. Christian Plank  
Kinder- und Jugendarzt, Kinderarztpraxis Dr. Dick & Kollegen, Röthenbach/Pegnitz;

PD Dr. Lutz T. Weber,  
Leiter der pädiatrischen Nephrologie der Universitäts-Kinderklinik, München

## Anmeldung:

Anmeldung bitte bis zum 20.Sept.2011 online über [www.PaediaCRO.eu](http://www.PaediaCRO.eu)

Die Teilnahme ist kostenlos.

Parkplätze sind nicht vorhanden! (Oktoberfest)

Bitte benutzen Sie öffentliche Verkehrsmittel U3/U6, Buslinie 58 (vom Hbf),  
Haltestelle Goetheplatz

Wegen des Oktoberfestes wird eine rechtzeitige Hotelreservierung empfohlen.

Diese Veranstaltung wurde ermöglicht durch die freundliche Unterstützung  
von PaediaCRO GmbH