

Kindgerechte Arzneimittel

## OKIDS & EUPATI – wie geht es weiter?

### Strategische Allianzen für Kinder und ihre Arzneimittelbedürfnisse

Geprüfte Kinderarzneimittel und richtige Darreichungsformen sowie dem Alter angepasste Dosierungen sind ein Recht der Kinder und Jugendlichen. Sie sind eine Voraussetzung, um sichere Wirkung und minimale bis keine Nebenwirkungen zu gewährleisten. Medikamente des Erwachsenenbereichs müssen nach wie vor zu oft bei Kindern eingesetzt werden in Ermangelung von spezifischen Zulassungen für Kinder. Ein solche Anwendung („Off-Label“) erfolgt zum Beispiel in der Neonatologie bei 90% aller Arzneimittelanwendungen. Damit ist die Medikamentensicherheit und Wirkung nicht ausreichend durch wissenschaftliche Daten belegt.

#### Kinderstudien sind richtig und wichtig

Studien mit und für Kinder sind elementarer Bestandteil einer spezifischen Arzneimittelentwicklung. Größtmögliche Sicherheit bei notwendigen Prüfungen

ist das zentrale Anliegen von medizinischen Prüfteams an Spezialzentren. Ausgewogene Aufklärung Betroffener ist ebenfalls ein wesentlicher Bestandteil.

OKIDS und EUPATI haben das zu einer zentralen Agenda ihrer Tätigkeiten gemacht und versuchen, Patienten und Familien frühzeitig in den Prozess der Arzneimittelentwicklung miteinzubeziehen: bei der Konzeption von Studien, bei Aufklärungsbögen und Mitsprache in Ethikkommissionen. Das Spektrum an notwendigen Kinderstudien ist groß sowie der Bedarf an therapeutischer Innovation im Bereich der seltenen Erkrankungen.

Univ.-Prof. Dr. Ruth Ladenstein, MBA, sagt: Wenn Eltern eine Studienteilnahme Ihres Kindes von Ihren behandelnden Ärzten an einer Klinik oder in einer Arztpraxis angeboten wird, bewegt sie vor allem die Frage: Soll mein Kind eine Behandlung erhalten, bei der ein Medikament erst erprobt wird? Hier haben Organisationen wie OKIDS und

EUPATI wichtige Aufklärungsarbeit im Vorfeld zu leisten.

Arzneimittelentwicklung für Kinder und Jugendliche hat seinen Preis. Hier stellt sich auch die Frage „was sind unsere Kinder wert?“ Wenn es sich um lebenslange Therapie handelt, ist diese Frage von besonderer Bedeutung. Hier ist die Gesellschaft mit allen Akteuren gefordert, sich in Solidarität den Problemen der Schwächsten und Kleinsten zu widmen und Ihnen eine bessere Zukunft mit bestmöglicher Lebensqualität zu eröffnen.

#### Leistungsspektrum OKIDS 2013–2017

##### Machbarkeitsprüfungen und klinische Studien:

Durch den Netzwerkaufbau wurde eine Netzwerkzentrale sowie Ansprechpartner an vier Standorten der österreichischen Universitäten und im St. Anna Kinderspital positioniert.

- Insgesamt wurden 78 Machbarkeitsprüfungen für 35 Industriepartner (Clinical Research Organizations (CROs) und Pharmafirmen) durchgeführt.
- 104 Studien in 35 pädiatrischen Erkrankungen (23 nicht-maligne und 12 maligne Indikationen) wurden von OKIDS Mitarbeitern unterstützt, davon waren 37 Studien „OKIDS“ initiiert.

##### Synergien mit neuen Partnern

- OKIDS unterzeichnete 2016 ein Memorandum of Understanding mit EUPATI
- OKIDS definierte gemeinsame Ziele und Aktivitäten mit ProRare Austria 2017, da viele Seltene Krank-



© Michael Seiner Photography

▲ V. l. n. r.: Ing. Claas Röhl, Obmann der Patientenorganisation NF Kinder, EUPATI; Univ.-Prof. Dr. Ruth Ladenstein, MBA, OKIDS Geschäftsführung Leitung der Abteilung S<sup>2</sup>IRP (Studies, Statistics & Integrated Projects) am Institut der St. Anna Kinderkrebsforschung, Konsulent am St. Anna Kinderspital; Prim.Univ.-Prof.Dr. Wolfgang Sperl, Präsident der ÖGKJ – Österreichische Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde, Vorstand der Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde Uniklinikum Salzburg

heiten oft früh im Leben beginnen und es keine krankheitsspezifischen Medikamente gibt.

#### Weiterbildung für Studienteilnehmer und Prüffärzte

Jährlich werden GCP-Kurse (Universität Innsbruck – KKS) unter anderem bei den Jahrestagungen der Österreichischen Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde (ÖGKJ) sowie bei den Treffen der einzelnen ÖGKJ Arbeitsgruppen (z.B. Rheumatologie (Salzburg 2016), Pädiatrische Hämatologie & Onkologie) abgehalten.

#### Öffentliche Präsentationen und Medien

In den letzten 54 Monaten fanden >25 themenspezifische Veranstaltungen sowie 7 Pressekonferenzen statt. Es gab 124 Clippings in den Pressemedien. OKIDS erstellte eine Web Page ([www.okids-net.at](http://www.okids-net.at)) auf Deutsch und Englisch auf der auch 4 Filme (Patienten/Eltern Statements, sowie Informationen von Ärzten) zu sehen sind, publizierte einen Artikel in der Monatsschrift Kinderheilkunde und erstellte gemeinsam mit der ÖGKJ 15 neue Richtlinien (ÖGKJ Webseite). Die erstellten Printmaterialien (OKIDS Infofolder, Elternbroschüren auf Deutsch & Englisch) werden sowohl von Pharmafirmen als auch von Spitälern gerne genutzt. – Auch „pädiatrie & pädologie“ berichtet.

#### Anerkanntes Enpr-EMA-Mitglied

Das Europäische Netzwerk für pädiatrische Forschung der Europäischen Arzneimittel-Agentur (Enpr-EMA) ist bestrebt, Studien zu erleichtern, um die Verfügbarkeit von Arzneimitteln zu erhöhen, die für Kinder und Jugendliche zugelassen sind. Enpr-EMA ist mit Mitgliedern innerhalb und außerhalb der Europäischen Union (EU), einschließlich der Hochschulen und der pharmazeutischen Industrie vernetzt. OKIDS hat alle Voraussetzungen erfüllt, um als Kategorie 1 Mitglied aufgenommen zu werden und ist seit 2014 in der Steuergroupe vertreten.

#### Europäische Projekte

- OKIDS ist Partner im Paediatric Clinical Research Infrastructure Network (PedCRIN): PedCRIN verbindet Kinderärzte und andere Partner in Europa (und international), um Ressourcen und Fachwissen im Management und in der Durchführung robuster Studien zu kombinieren, um damit Risiko zu minimieren und teilnehmende Kinder zu schützen.
- OKIDS ist Partner im Collaborative Network für europäische klinische Studien für Kinder (C4C): C4C ist ein Netzwerk für europäische klinische Studien für Kinder und Jugendliche, eine integrierte Plattform für die effiziente und schnelle Bereitstellung qualitativ hochwertiger klinischer Studien. OKIDS ist Teil des Konsortiums als „single point of contact“ für Österreich. Dieses IMI2-Projekt ist ein gemeinsames Förderansuchen von Industrie und nicht Industriepartnern. Die finale Beurteilung der Phase 2 des Antrages wird im Dezember 2017 erwartet.

#### OKIDS Hürden – Rückblick – Ausblick

- 90-prozentiger Aufwand für die 10-prozentige Chance, in einer pädiatrischen Studie ausreichend Patienten zu rekrutieren
- Vergütungen für klinische Studien oft sehr spät (oft erst nach 1 bis 2 Jahren) und nicht ausreichend, um die Fortsetzung der Studienaktivitäten an den Standorten aufrechtzuerhalten
- Zunehmende CRO-Kontakte statt österreichischer Pharma-Partner, geringe klinische Aktivität von Pharma-Partnern in Österreich
- Selbsterhalt von pädiatrischen Netzwerken ist der unmögliche Traum
- Keines der Enpr-EMA-Netzwerke ist selbsttragend
- Kernförderung ist wichtig, um pädiatrische Netze lebensfähig zu machen

#### Adäquate Personalfinanzierung

- Beispiel Großbritannien: 1 €/Kind/Jahr Investition für die klinische Forschung! (Marc Turner/Leiter Enpr-EMA)
- Bevölkerung in Österreich: 1.618.961 Jugendliche in der Altersgruppe von 0–18 Jahren, was 18,5% der Gesamtbevölkerung von 8.772.865 2017 entspricht (Stat. Österreich 2017)
- Übertragen würde dies eine Kernfinanzierung von 1,6 Mio €/Jahr bedeuten, womit eine adäquate Personalfinanzierung an Prüfstandorten in Österreich ermöglicht werden könnte.

#### OKIDS & EUPATI: Gemeinsame Sorgen

Das Projekt EUPATI wurde bis Jänner 2017 von der EU gefördert, jetzt wird EUPATI in Österreich als Verein geführt und bemüht sich eigenständig aktiv um Fördermittel.

OKIDS ist noch bis Mai 2018 gefördert und bemüht sich ebenfalls um weitere Fördermittel, um das Spektrum der Aufgaben der Kinderarztneimittelforschung weiter sachgerecht unterstützen zu können.

#### Weitere Informationen

OKIDS Geschäftsführung:  
Univ.-Prof. Dr. Ruth Ladenstein  
Fachliche Rückfragen OKIDS:  
Univ.-Prof. Dr. Ruth Ladenstein  
OKIDS GmbH, Zimmermannplatz 10,  
1090 Wien, 01/40470-4750  
E-Mail: [ruth.ladenstein@okids-net.at](mailto:ruth.ladenstein@okids-net.at);  
Internet: [www.okids-net.at](http://www.okids-net.at)  
**EUPATI Obmann: Ing. Claas Röhl,**  
Obmann, NF Kinder,  
E-Mail: [claas.roehl@nfkinder.at](mailto:claas.roehl@nfkinder.at),  
**Fachliche Rückfragen EUPATI:**  
Claas Röhl, E-Mail: [at-nltteam@eupati.eu](mailto:at-nltteam@eupati.eu)  
Internet: <https://www.eupati.eu/de/>

Paediatr. Paedolog. Austria  
<https://doi.org/10.1007/s00608-017-0541-6>

© Springer-Verlag GmbH Austria, ein Teil von Springer Nature 2017

Quelle: Pressekonferenz in Wien, 15. November 2017