

**Stellungnahme der Deutschen Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin e. V. (DGKJ)
im Rahmen der öffentlichen Anhörung im Ausschuss für Gesundheit des Deutschen
Bundestages zur Arzneimittelversorgung am 21.02.2024.**

Arzneimittelengpässe

Die erheblichen Lieferengpässe von Arzneimitteln - nicht nur für Fiebersäfte und Antibiotika -- bestehen seit mittlerweile anderthalb Jahren. Die DGKJ setzt sich für eine bestmögliche Versorgung und eine Verbesserung der Situation für Kinder und Jugendliche ein. Im Juli 2023 hatte die DGKJ wichtige Akteure wie Vertreterinnen und Vertreter der pädiatrischen Fachgesellschaften, des Bundesgesundheitsministeriums (BMG), des Bundesamts für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM), der Pharmaindustrie, des Berufsverbands der Kinder- und Jugendärzt*innen (BVKJ) und von Elternvertretungen an einem Runden Tisch zusammengebracht. Die DGKJ begrüßt die Initiative des im Rahmen eines auf den Runden Tisch folgenden Kinderarzneimittelgipfels vorgestellten 5-Punkte-Plans zur Sicherung der Versorgung mit Kinderarzneimitteln im Herbst/Winter 2023/24 ausdrücklich. Ebenso begrüßen wir die Einrichtung der High-Level-AG beim BMG für eine bessere und gezieltere Steuerung der Arzneimittel-Versorgung.

Das im Juni 2023 beschlossene Arzneimittel-Lieferengpass-Bekämpfungs- und Versorgungs-Verbesserungs-Gesetz (ALBVVG) greift diese Problematik auf. Grundsätzlich ist das ALBVVG als guter und wichtiger Schritt zu begrüßen, um den Arzneimittelengpässen zu begegnen - eine kurzfristige Verbesserung wird es jedoch nicht bringen können. Notwendig sind tragfähige Maßnahmen zur Verbesserung der Lage in naher und mittlerer Zukunft, um die Engpässe auch in der aktuellen Infekt-Saison abmildern zu können. In den letzten Jahren wurden weitere Befugnisse des BfArM geschaffen, wobei der Fokus mit der Anordnung von Kontingentierung oder Bevorratung zunehmend auf die Vorsorge von Lieferschwierigkeiten verlagert wird.

Die mit dem ALBVVG beschlossene Aufhebung der Festbeträge für Medikamente, die speziell für Kinder benötigt werden, erscheint sinnvoll. Dass die Anhebung des Abgabepreises um 50 % tatsächlich die Problematik kurzfristig löst und vor allem langfristig zum Ausbau von Produktionskapazitäten seitens der Hersteller in Europa führen wird, sehen wir eher kritisch. Die Folgen der Verlagerung der Arzneimittelproduktion in Drittstaaten ist mittlerweile hinlänglich bekannt. Es ist davon auszugehen, dass die bisher geplanten Maßnahmen nicht ausreichen, den Arzneimittel-Produktionsstandort Europa auszubauen und die Versorgungslage dauerhaft zu verbessern.

Kinderarzneimittel-Liste und „Kinderformularium.DE“

Ein Kernstück der pädiatrischen Arzneimittelversorgung ist die „Kinderarzneimittel-Liste“, die zugelassene Arzneimittel mit für die pädiatrische Dosierung geeigneten Wirkstärken und/oder in für Kinder geeigneten Darreichungsformen enthält sowie Parenteralia, welche ausschließlich in der Pädiatrie Verwendung finden. Diese können in ein Frühwarnsystem zur Erkennung von drohenden versorgungsrelevanten Lieferengpässen aufgenommen werden, wie es das BfArM entwickelt. An der Entwicklung dieser Kinderarzneimittelliste war die DGKJ mit ihren Konvent-Gesellschaften federführend beteiligt.

Im Dezember 2022 haben die DGKJ, der BVKJ und die Deutsche Gesellschaft für Pädiatrische Infektiologie (DGPI) eine Tabelle zur kalkulierten oralen Antibiotikatherapie mit Nennung von Alternativen bei Lieferengpässen herausgegeben, die nach wie vor Gültigkeit hat (https://www.dgkj.de/fileadmin/user_upload/Stellungnahmen/221220_Amoxicillin-Alternativen_Paediatrie-ambulant_Tabelle.pdf).

Das Kinderformularium.DE (https://kinderformularium.de/sign_in/startseite) ist eine unabhängige Datenbank für evidenzbasierte Dosierungen und Informationen zur Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen. Die Datenbank wurde mit Mitteln des BMG im Rahmen des Aktionsplans zur Verbesserung der Arzneimittelsicherheit in Deutschland entwickelt und wird aktuell durch die DGKJ und Spenden finanziell unterstützt. Eine dauerhafte Finanzierung durch Bundesmittel ist dringend notwendig, um dieses kostenfreie Angebot für medizinisches und pharmazeutisches Fachpersonal zu sichern.

Off label-Use

Nach wie vor stellt der mit den Engpässen verbundene off-label-use ein drängendes Problem dar: Arzneimittelengpässe im Kindes- und Jugendalter können oft nur durch den Einsatz von Medikamenten, die für das entsprechende Alter oder die Darreichungsform nicht zugelassen sind, kompensiert werden. Seitens der gesetzlichen Krankenversicherungen besteht aber keine Verpflichtung zur Kostenübernahme, es sei denn, ein schwerwiegender lebensbedrohlicher Verlauf wäre anders nicht abzuwenden. Die Definition der notwendigen Bedingungen aus einem Bundessozialgerichtsurteil wird jedoch meist sehr streng ausgelegt. Dieses Problem muss unbedingt Berücksichtigung finden. Das ALBVVG greift die Möglichkeit und Problematik der Anwendung alternativer off-label-Arzneimittel gar nicht auf.

Die vorhandenen Instrumente zur rechtssicheren Finanzierung von Verordnungen im off-label-Bereich bedürfen der Anpassung und Verbesserung. Zur fachlich-wissenschaftlichen

Beurteilung dieser Thematik gibt es im BfArM eine Expertengruppe off-label-use, diese arbeitet jedoch nur reaktiv, indem sie Anfragen bearbeitet, und auf ehrenamtlicher Basis. Im Bereich Kinder- und Jugendmedizin gibt es die Kommission für Arzneimittelsicherheit im Kindes- und Jugendalter (KAKJ) beim BfArM, die ebenfalls nur auf Anfrage und ehrenamtlich tätig ist. Der bürokratische Weg, Prüfungen von off-label-Anwendungen von Generika bei Kindern und Jugendlichen durchzuführen, muss vereinfacht werden. Die Kommissionen müssen in die Lage versetzt werden, evidenzbasierte off-label Anwendungsempfehlungen von Arzneimitteln zu erarbeiten. Eine Stärkung dieser Organe und Erteilung operativer Kompetenzen ist dringend notwendig, um die Arzneimittelsicherheit für Kinder langfristig zu erhöhen. Zusätzlich müssen Rahmenbedingungen und weitere Anreize für die pharmazeutische Industrie geschaffen werden, Studien auch im Bereich der Kinder- und Jugendmedizin durchzuführen.

Auch auf europäischer Ebene müssen dringend Maßnahmen angeregt werden. Bislang konnte keine signifikante Verbesserung der Versorgungssituation bei bereits zugelassenen und in der Pädiatrie häufig off-label eingesetzten Wirkstoffen mit der Kinderarzneimittelverordnung, z. B. über die paediatric-use marketing authorisation (PUMA-Zulassungen), erreicht werden. Die DGKJ begrüßt daher, dass die EU-Arzneimittelrechtssprechung basierend auf den Erfahrungen der letzten Jahre angepasst werden soll. Ein Großteil der geplanten Änderungen ist zu befürworten, wie die Möglichkeit einer stufenweisen Entwicklung eines pädiatrischen Prüfplans (PIP) und einer späteren PIP-Einreichung. Somit besteht die Möglichkeit, die pädiatrische Entwicklung an veränderte oder sich entwickelnde pädiatrische Bedürfnisse anzupassen. Allerdings muss sichergestellt werden, dass die pädiatrischen Entwicklungen nicht erst nach der Erwachsenen-Zulassung stattfinden, da dies die off-label-Anwendung der neuen Medikamente fördert und weniger Patienten für die Kinderstudien zur Verfügung stehen. Überaus kritisch zu sehen ist die geplante Auflösung des für die Begutachtung und Genehmigung von pädiatrischen Prüfkonzepten zuständigen Pädiatrieausschusses (PDCO) in der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA). Mit dessen Auflösung fällt ein wichtiges wissenschaftliches Gremium für die Entwicklung von Kinderarzneimitteln weg. Die Bundesregierung wird dringend aufgefordert, dies zu verhindern.

Medizinprodukteverordnung

Weiterhin bedroht die Neuregelung der europäischen Medizinprodukteverordnung (MDR) die Verfügbarkeit von für Kinder notwendigen und teils lebensnotwendigen Medizinprodukten (z. B. Herzkatheter). Diese bewährten Produkte müssen aus den verschärften Regeln herausgenommen werden. Im Sinne einer Daseinsfürsorge muss dafür Sorge getragen werden, dass die entsprechenden Medizinprodukte in Europa weiter

verfügbar bleiben. Andernfalls drohen in der medizinischen Versorgung unserer jüngsten Patientinnen und Patienten frapierende Lücken und damit eine akute Gefährdungslage.

Kontakt:

Deutsche Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin e. V. (DGKJ)

Priv.-Doz. Dr. med. Burkhard Rodeck, Generalsekretär

politik@dgkj.de, www.dgkj.de