

**Stellungnahme der Deutschen Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin e. V. (DGKJ)
zum Kabinettsentwurf eines Medizinforschungsgesetzes**

02.07.2024

Grundsätzlich begrüßt die DGKJ den Kabinettsentwurf zum Medizinforschungsgesetz, welcher aus Sicht der Kinder- und Jugendmedizin in großen Teilen als positiv zu bewerten ist.

Die Innovationen der Medizin und Medizinforschung müssen auch Kindern und Jugendlichen zukommen. Kinder und Jugendliche stellen eine besonders schutzbedürftige Patientengruppe dar. So sind bspw. ihre altersangemessene Aufklärung und Einwilligung in klinische Forschung eindeutig zu regeln, im Einklang mit den Vorgaben der Helsinki Erklärung und den Prinzipien der Good Clinical Practice. Insofern sind klare und verbindliche gesetzliche Vorgaben zweifelsohne wichtig und richtig. Gleichzeitig sollten diese den Zugang aber keinesfalls behindern oder verkomplizieren. Neben den eindeutigen gesetzlichen Vorgaben sind daher auch sinnvolle Regelungen für die Prüfungs- und Bewilligungsprozesse medizinischer Forschungsvorhaben von entscheidender Bedeutung. Dabei müssen die besonderen Belange der vulnerablen Patientengruppe der Kinder und Jugendlichen stets berücksichtigt werden.

Daher unterstützen wir insbesondere das Ziel einer Verschlinkung der Abläufe und einer beschleunigten Bearbeitung der Anträge zur klinischen Prüfung von Arzneimitteln, mit Nachdruck. Bisher beträgt die durchschnittliche Dauer zur Genehmigung von Anträgen in Deutschland zwischen 150 und 300 Tagen. Das ist eine Innovationsbremse; hier müssen wir deutlich besser werden, zumal noch weitere Prüfschritte z. B. zur Einwerbung von Forschungsgeldern zeitlich hinzugerechnet werden müssen.

Die in der Stellungnahme der Leopoldina geforderten Maßnahmen, die aktuell nicht oder nur teilweise im Medizinforschungsgesetz angesprochen wurden, werden von uns ebenso gefordert. Dazu gehören insbesondere:

- Verbesserung der datenschutzrechtlichen Rahmenbedingungen
- Registrierungs- und Publikationspflicht für klinische Studien
- Verbesserung der Antragsverfahren für klinische Arzneimittelprüfungen
- Vereinfachung von Verfahren für Sonstige Studien
- Verbindliche Mustervertragsklauseln.

Die Vereinfachung der Abläufe wurde im Entwurf für die studienbedingten Röntgenuntersuchungen, die frühzeitig im Antragsverfahren berücksichtigt werden und nicht sekundär bzw. getrennt in einem separaten Verfahren beim Bundesamt für Strahlenschutz beantragt werden müssen, bereits umgesetzt. Das ist eine sinnvolle Regelung, die wir begrüßen.

Die klinische Forschung allgemein und die Durchführung von klinischen Studien im Besonderen sind in der vulnerablen Gruppe der Kinder und Jugendlichen mit besonderen Herausforderungen behaftet. Dies führt dazu, dass weniger Studien durchgeführt und abgeschlossen werden. Daten, die in der Versorgung der Patienten routinemäßig oder mit einfachen Maßnahmen erhoben werden, stehen nur schwer für Auswertungen zur Verfügung. Klinische Studien bei Kindern und Jugendlichen sind höchst notwendig, besonders auch um wissenschaftlich basierte Erkenntnisse zur richtigen Dosierung von Arzneimitteln zu erlangen. Das Fehlen vieler solcher Studien ist auch eine Folge der hohen Kosten der Studiendurchführung und des hohen regulatorischen Aufwandes; beides wird von der arzneimittelherstellenden Industrie gescheut. Aufgrund bisher fehlender Daten für diese Altersgruppen müssen daher Arzneimittel oft noch im off-label-use verabreicht werden.

Besonderes Augenmerk muss auf die Differenzierung zwischen Zulassungsstudien und ‚Sonstigen Studien‘ gelegt werden. Für die Pädiatrie von besonderer Relevanz ist die, auch von der Leopoldina geforderte, Vereinfachung ‚Sonstiger Studien‘. Aufgrund der häufigen off-label Anwendung fallen selbst einfache nicht-interventionelle Studien und Anwendungsbeobachtungen unter den jetzigen Rahmenbedingungen unter das Arzneimittelgesetz (AMG) und benötigen damit deutlich mehr Ressourcen als nicht AMG-Studien, sind teilweise nicht mehr praktikabel mit einem vertretbaren Aufwand durchführbar. Das trifft selbst für Therapien zu, die z. B. auf dem Gebiet der Kinderonkologie seit vielen Jahren erfolgreich routinemäßig angewendet werden, bei denen der Einsatz der Medikation aber z. T. off-label ist. Hier wäre es sehr wünschenswert, dass Wege gefunden werden, dass prospektiv Daten, die im Rahmen der medizinischen Standardbehandlung mit off-label eingesetzten Arzneimitteln erhoben werden, einfacher ausgewertet werden können, entweder in Form klinischer Register oder nicht-interventioneller Studien. Zusätzlich sollten Studien mit bereits zugelassenen Medikamenten, die in der Pädiatrie geprüft werden, in einem einfacheren Verfahren als AMG-Studien durchgeführt werden. Hier bedarf es einer eindeutigen Unterscheidung zwischen AMG-Studien und ‚sonstigen Studien‘.

Im Entwurf für das Medizinforschungsgesetz ist eine Bundesethik-Kommission vorgesehen mit einer Zuständigkeit für internationale, und Studien mit noch nicht zugelassenen Medikamenten oder sehr komplexe Studien.

Dabei bewerten wir eine Einrichtung einer zentralen Bundesethikkommission am BfArM kritisch. Wir befürchten, dass sich damit eine Parallelstruktur zu den 33 unabhängigen Ethikkommissionen an den Medizinischen Fakultäten der Universitäten und bei den Landesärztekammern entwickelt und im schlimmsten Fall eine zusätzliche Prüfinstanz hinzugeschaltet wird. Daher ist dieser Vorschlag aus unserer Sicht abzulehnen. Für sinnvoll hingegen würden wir ein System mehrerer spezialisierter Ethikkommissionen halten, die die entsprechenden Verfahren bearbeiten und prüfen. Dabei sind die Prüfabläufe aber stringent

zu regeln, um eine zeitnahe Prüfung sicherzustellen. Bei multizentrischen Studien ist es derzeit so geregelt, dass eine Ethikkommission, in der Regel am Ort des Sponsors der Studie, den Prüfplan prüft, und danach die regionalen Ethikkommissionen auf der Grundlage dieses Votums die Eignung der lokalen Prüfgruppe für diese Studie prüfen. In der Realität ist es aber oft der Fall, dass die lokale Ethikkommission über ihren Auftrag hinaus auch das bereits geprüfte Studienprotokoll einer Prüfung unterzieht. Solche Doppelprüfungen, die mit einer erheblichen Verzögerung bei der Studieninitiierung verbunden sind, müssen durch eine klare, stringente und verbindlich nachgehaltene Regelung der Prozesse verhindert werden.

Bei der fachlichen Schwerpunktbildung und Spezialisierung zentral zuständiger Ethikkommissionen bedarf es unbedingt der Spezialisierung mehrerer Ethikkommission für die Altersgruppe der Kinder und Jugendlichen. Diese könnten sinnvollerweise mit Standorten des Deutschen Forschungszentrums für Kinder- und Jugendgesundheit assoziiert sein. Für die Kinder- und Jugendmedizin gilt es, mit entsprechender Expertise, die kindlichen Entwicklung und altersspezifische Besonderheiten zu berücksichtigen, die es in der Erwachsenenmedizin nicht gibt. Auch haben die unterschiedlichen Spezialisierungen die gleiche breite Fächerung wie die gesamte Erwachsenenmedizin. Wir fordern daher nicht nur die Einbindung pädiatrischer Expertinnen/Experten während des gesamten Ablaufs des Antrags- und Studienverfahrens, bei allen Studien, in denen Kinder und Jugendliche eingeschlossen werden. Aus unserer Sicht sollten die beteiligten Ärztinnen/Ärzte bei Studien mit Kindern und Jugendlichen ausschließlich aus der Kinder- und Jugendmedizin bzw. aus anderen auf diese Altersgruppe spezialisierten Disziplinen (z.B. Kinderchirurgie) rekrutiert werden. Dies beinhaltet auch die Berücksichtigung des breiten Fächerspektrums der Pädiatrie. So muss die spezielle pädiatrische Expertise aus den einzelnen Subspezialitäten entsprechend eingebunden sein.

Kontakt:

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

Prof. Dr. Ursula Felderhoff-Müser, Präsidentin

Prof. Dr. Dominik T. Schneider, Sprecher des Konvents für fachliche Zusammenarbeit

politik@dgkj.de, www.dgkj.de