



## **Kinderarzneimittel im deutschen Gesundheitssystem**

Die Initiative Arzneimittel für Kinder ist ein gemeinnütziger Verein, der von Mitgliedern aus der Arzneimittelindustrie, der Apothekerschaft und der Forschung getragen wird. Er hat sich unter anderem zum Ziel gesetzt, die Rahmenbedingungen für die Entwicklung und die Etablierung von Arzneimitteln speziell für Kinder zu verbessern. Die Initiative stellt in diesem Zusammenhang folgende Problempunkte in Deutschland fest, die einigen Grundkonzepten der EG-Verordnung zu Kinderarzneimitteln widersprechen:

### **1. Zugelassene Kinderarzneimittel werden**

- **gegen scheinbar gleiche Erwachsenen-Arzneimittel bei der Abgabe in der Apotheke ausgetauscht**
- **ungerechtfertigterweise über das Preismoratorium erfasst. Es fehlt eine Ausnahmeregelung.**
- **nicht als therapeutische Verbesserungen in eine eigene, spezielle Festbetragsgruppe eingeordnet, sondern wie Erwachsenen-Arzneimittel behandelt.**

### **2. Für zugelassene Kinderarzneimittel wird der medizinische Zusatznutzen grundsätzlich in Frage gestellt.**

## **Regulatorischer Hintergrund zu Kinderarzneimitteln**

Mit der europaweit geltenden EG-Verordnung zu Kinderarzneimitteln (Nr. 1901/2006) wurde im Jahr 2007 ein neuer Rechtsrahmen für eine Verbesserung der Therapie und der Informationen zu Arzneimitteln zur pädiatrischen Verwendung geschaffen. Aufgrund von Übergangsbestimmungen sind die Neuregelungen für Kinderarzneimittel im Januar 2009 vollumfänglich in Kraft getreten.

### Muss für neue Arzneimittel mehr geforscht werden?

Ja! Kern der Verordnung zu Kinderarzneimitteln ist die Regelung, dass noch nicht zugelassene Arzneimittel (der Wirkstoff muss nicht neu sein) erst nach Durchführung eines von der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA bzw. dem speziell dafür dort eingerichteten Pädiatrieausschuss) geprüften pädiatrischen Forschungskonzeptes (Paediatric Investigational Plan – PIP) zur Zulassung beantragt werden können – ohne Durchführung des genehmigten PIP ist der Zulassungsantrag für neue Arzneimittel unzulässig. Mit dem PIP soll sichergestellt werden, dass Daten und Voraussetzungen definiert und geprüft werden, unter denen ein Arzneimittel zur Behandlung der pädiatrischen Bevölkerungsgruppe zugelassen werden kann.

Diese genehmigten Forschungskonzepte beinhalten bislang ausnahmslos umfangreiche vorklinische und klinische Studien. Vor der Zulassung des neuen Arzneimittels prüft die Zulassungsbehörde unter Beteiligung des EMA-Pädiatrie Ausschusses im Rahmen eines sogenannten Compliance Check, ob im Rahmen des

Zulassungsantrages die Anforderungen des gebilligten pädiatrischen Forschungskonzeptes einhalten wurden.

Sind auch Arzneimitteln betroffen, die es schon länger gibt?

Ja! Wenn auch auf freiwilliger Basis. Diese Bestimmungen finden auch bei nicht mehr patentgeschützten Arzneimitteln Anwendung. Um hier einen eigenständige Zulassung als Kinderarzneimittel (Paediatric Use Marketing Authorisation – PUMA) zu erhalten, sind, wie bei einem neuen Arzneimittel, gemäß einem PIP (s.o.) umfangreiche Studien notwendig, die der zukünftige Zulassungsinhaber zusätzlich zu dem bereits zugelassenen „Erwachsenen-Arzneimittel“ durchführen und finanzieren muss. **PUMA-Arzneimittel werden ausschließlich für Kinder zugelassen und erfüllen somit eine Alleinstellung ohne therapeutisch gleichwertige Alternative.** In diesem Zusammenhang ist hervorzuheben, dass sich pharmazeutische Unternehmen auch ohne den „Anreiz“ einer PUMA-Zulassung in der Entwicklung kindgerechter Darreichungsformen engagieren.

Aus diesen hohen Anforderungen, die vom EMA-Pädiatrieausschuss mittels genehmigter Forschungskonzepte verbindlich festgelegt werden, leiten sich hohe Kosten für die Arzneimittel-Hersteller ab. Einer der Kernpunkte der Verordnung ist, dass diese zusätzlichen Aufwendungen durch Kompensationsmaßnahmen ausgeglichen werden sollen. **Eine solche Unterstützung, besonders für die freiwillige Forschung, ist bislang weder in Deutschland noch in den meisten anderen europäischen Mitgliedstaaten umgesetzt worden.**

Im Gegenteil: In Deutschland hat man zusätzliche Hürden erschaffen oder sogar Vorschriften installiert, die den Ideen der EG-Verordnung zu Kinderarzneimitteln entgegenstehen. In erster Linie sind die nachfolgenden Problempunkte festzustellen.

### **Austauschbarkeit von Kinderarzneimitteln gegen Erwachsenen-Arzneimittel**

Der Initiative ist es ein besonderes Anliegen, die Entwicklung von kindgerechten Fertigarzneimitteln zu fördern. Mit Sorge beobachten wir, **dass Apotheken gezwungen sind, Arzneimittel, die speziell für Kinder entwickelt wurden, gegen wirkstoffgleiche „Erwachsenen-Arzneimittel“ auszutauschen.** Dies geschieht aufgrund der gesetzlichen und rahmenvertraglichen Vorgabe, rabattbegünstigte Fertigarzneimittelpackungen bevorzugt abzugeben.

Ein solcher Austausch erschwert oder gar gefährdet in unnötiger Weise den Therapieerfolg.

Wieso kommt es zu Problemen?

Die besonders für Kinder entwickelten Arzneimittel berücksichtigen altersgerechte Dosierungen und eigens entwickelte Darreichungsformen, wie Säfte oder Zäpfchen. Besonders bei Säuglingen und Kleinkindern erreicht man auf diese Weise, dass die Arzneimittel genommen werden wollen und der kleine Patient sie auch einnehmen kann.

Der zwangsweise Austausch gegen ein „Erwachsenen-Arzneimittel“ stellt unseres Erachtens das Ansinnen der EU-Verordnung zu Kinderarzneimitteln, die Forschung und Entwicklung kindergerechter Arzneimittel zu fördern, ins Absurde.

Auch die erforderliche Wirtschaftlichkeit dieser Arzneimittel ist, nicht zuletzt wegen der Bürde einer mangelnden Differenzierung bei der Festbetragsfestsetzung,

nachhaltig gefährdet. Daher werden pharmazeutische Unternehmen aus wirtschaftlichen Gründen gezwungen sein, die Entwicklung und Herstellung von pädiatrischen Arzneimitteln aufzugeben. **Somit stünden in der Pädiatrie nur Arzneimittel mit Dosierungen und Darreichungsformen zur Verfügung, die für die Anwendung beim Säugling oder Kleinkind nicht geeignet sind.**

#### Gibt es Folgekosten?

Ja! Eine unzureichende Therapie erhöht nach allen medizinischen Erkenntnissen die Gefahr einer Erkrankungsver schlimmerung, was in aller Regel zu höheren Kosten im Rahmen der Versorgung des GKV-Versicherten führen wird.

#### Gibt es eine Lösung?

Ja! **Bitte setzen Sie sich dafür ein**, dass der durch das 14. SGB V-ÄndG beauftragte Gemeinsame Bundesausschuss bei der Erstellung der sogenannten Nicht-Austauschliste der besonderen Sachlage der Kinderarzneimittel Rechnung trägt.

### **Auswirkung des Preismoratoriums auf Kinderarzneimittel**

#### Gilt das Preismoratorium für alle Altersklassen?

Leider ja! Das Preismoratorium unterscheidet bei den Patienten nicht zwischen Kindern oder Erwachsenen.

Will man, wie bereits dargelegt, Arzneimittel speziell für Kinder anpassen, ist es in der Regel erforderlich, neue Dosierungen und Darreichungsformen zu entwickeln. Diese speziellen Kinderarzneimittel werden dann allerdings – wie bei Wirkstärkenänderung üblich – in das derzeit gültige Preismoratorium einbezogen. Hierdurch wird den Unternehmen die Möglichkeit genommen, ihre Entwicklungskosten zu refinanzieren. Im Ergebnis führt das zwangsläufig dazu, dass **die Forschung und Weiterentwicklung von Arzneimitteln mit bekannten Wirkstoffen zu speziellen Kinderarzneimitteln beeinträchtigt, eingestellt oder erst gar nicht erst begonnen wird.** Auf diese Weise konterkariert Deutschland die mit der europäischen Kinderarzneimittelverordnung angestrebte Unterstützung der freiwilligen Forschung zur Verbesserung der Therapie von Kindern und Jugendlichen mit Arzneimitteln.

#### Gibt es eine Lösung?

Ja! **Bitte setzen Sie sich dafür ein**, dass zulassungspflichtige Weiterentwicklungen von Arzneimitteln zu spezifischen Kinderarzneimitteln **nicht** über das Preismoratorium generell mit den vorhandenen Arzneimitteln gleichgestellt werden.

### **Festbetrags-Vorgaben für Kinderarzneimittel**

#### Warum müssen Kinderarzneimittel billiger als Erwachsenenarzneimittel sein?

Ähnlich wie bereits zuvor beim Preismoratorium, **werden speziell für Kinder entwickelten Arzneimittel bei den Festbeträgen wie Erwachsenenarzneimittel behandelt.** Die Eingruppierung dieser pädiatrischen Innovationen in eine Festbetragsgruppe mit den wirkstoffgleichen Erwachsenenarzneimitteln wirkt sich wirtschaftlich verheerend aus.

Fast ausnahmslos werden die Darreichungsformen von Arzneimitteln für Erwachsene (z. B. Tabletten) und Darreichungsformen für Kinderarzneimittel (z. B. Säfte) in einer Festbetragsgruppe zusammengefasst. Grundlage für die Festbetragsfestsetzung durch den GKV-Spitzenverband ist dabei u. a. die vom G-BA vorzunehmende Bestimmung der Vergleichsgrößen, bei der sämtliche im Markt verfügbaren Einzelwirkstärken zu einem imaginären, fiktiven Durchschnittswert zusammengeführt werden. **Auf Basis der daraus abgeleiteten Formel ergibt sich immer, aufgrund der geringeren Dosierung von Kinderarzneimitteln, ein wesentlich niedrigerer Festbetrag für die Kinderarzneimittel.**

#### Könnte man das ändern?

Ja! Für Arzneimittel mit therapeutischen Verbesserungen – hierzu sollten zweifelsohne speziell für Kinder angepasste Arzneimittel zählen – hat **der Gesetzgeber die Möglichkeit der Ausnahme von einer Festbetragsgruppe vorgesehen (§ 35 Abs. 1 SGB V)**, sofern diese Produkte einen therapierelevanten höheren Nutzen gegenüber anderen Arzneimitteln der Wirkstoffgruppe aufweisen und das betreffende Arzneimittel als zweckmäßige Therapie regelmäßig oder auch für relevante Patientengruppen oder Indikationsbereiche den anderen Arzneimitteln der Gruppe vorzuziehen ist (§ 35 Abs. 1b SGB V).

#### Wo liegt das Problem?

Der § 35 Abs. 1 SGB V sieht die Herausnahme aus einer Festbetragsgruppe nur für Arzneimittel mit patentgeschützten Wirkstoffen vor, nicht jedoch für spezielle neue Kinderarzneimittel mit bekannten Wirkstoffen, was die Initiative Arzneimittel für Kinder als nicht sachgerecht erachtet.

Auch Neuentwicklungen von Arzneimitteln mit bekannten, patentfreien Wirkstoffen können wichtige therapeutische Verbesserungen darstellen und wären somit Kandidaten für eine Ausnahme bei einer Festbetragsgruppe.

Insbesondere trifft dies auf neue Kinderarzneimittel mit bekannten Wirkstoffen zu, die gemäß der EG-Verordnung entwickelt wurden und nach Auffassung der Initiative die in § 35 Abs. 1b SGB V genannten Kriterien einer therapeutischen Verbesserung erfüllen. In Bezug auf die relevante Patientengruppe der Kinder sind sie in diesem Fall als zweckmäßige Therapie anzusehen und deshalb von den anderen Arzneimitteln einer Festbetragsgruppe abzugrenzen.

#### Gibt es eine Lösung?

Ja! **Bitte setzen Sie sich dafür ein**, die speziell für Kinder entwickelten Arzneiformen in einer eigenen Festbetragsgruppe mit einem angepassten Festbetrag zusammenzufasst werden.

### **Der medizinische Zusatznutzen für zugelassene Kinderarzneimittel sollte als belegt gelten**

#### Haben Kinderarzneimittel per se einen Zusatznutzen?

Nein! Der G-BA, das höchste Gremium der gemeinsamen Selbstverwaltung im Gesundheitswesen in Deutschland, hat 2011 beschlossen, dass **auch neue Kinderarzneimittel mit bekannten Wirkstoffen (PUMA, s.o.) zwingend dem Verfahren der frühen Nutzenbewertung unterfallen.**

PUMA-Arzneimittel werden ausschließlich für Kinder zugelassen und erfüllen somit eine Alleinstellung. Ebenso wie bei den Arzneimitteln zur Behandlung seltener Leiden (Orphan drugs) ist davon auszugehen, dass es für die Behandlung in der pädiatrischen Bevölkerungsgruppe keine therapeutisch gleichwertige Alternative gibt.

Zwar ist in der Gesamtheit das Patientenkollektiv für Kinderarzneimittel größer als das der Arzneimittel zur Behandlung seltener Erkrankungen, jedoch sind innerhalb der pädiatrischen Bevölkerungsgruppe fünf Untergruppen (Frühgeburten, Neugeborene bis 27 Tage, Säuglinge und Kinder bis zwei Jahre, Kinder bis 11 Jahre und Jugendliche) voneinander getrennt zu untersuchen. Aufgrund der enormen körperlichen und metabolischen Unterschiede zwischen den oben genannten Altersgruppen werden PUMA-Zulassungen im Regelfall nur gezielt für einzelne der oben genannten Untergruppen erteilt, so dass der Anteil der Kinder, für den ein solches Kinderarzneimittel nach PUMA letztendlich zugelassen wird, sehr viel geringer ist, als die Gesamtheit der pädiatrischen Bevölkerungsgruppe.

#### Gibt es eine Lösung?

Ja! **Bitte setzen Sie sich dafür ein**, dass – ebenso wie für Arzneimittel zur Behandlung seltener Erkrankungen – die PUMA-zugelassenen Kinderarzneimittel vom ergänzenden Nachweis zum Nutzen bzw. Zusatznutzen vor dem G-BA freigestellt werden und die erteilte PUMA-Zulassung als Zusatznutzen für die pädiatrische Bevölkerungsgruppe anerkannt wird.

Stand 2014-04-02

Ihre Ansprechpartner:

Dr. Elmar Kroth  
Stellv. Vorsitzender IKAM  
Geschäftsführer Wissenschaft BAH  
Tel.: 0228 95745-39  
Mail: kroth@bah-bonn.de

Dr. Andreas Franken  
Geschäftsführer IKAM  
Initiative Arzneimittel für Kinder  
Tel.: 0228 95745-51  
Mail: franken@bah-bonn.de

Geschäftsstelle IKAM  
Ubirstraße 71-73  
53173 Bonn