

„Kinder sind keine kleinen Erwachsenen“

An der Salzburger Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde der Paracelsus Universität wird seit Jahren erfolgreich geforscht, in enger Zusammenarbeit mit der Erwachsenenmedizin. Der Bedarf an klinischen Studien für Kinder ist groß, nur wenige Arzneimittel sind auch für die Jüngsten zugelassen.

ILSE SPADLINEK



BILD: SHUTTERSTOCK/PHOTO

E„Es ist für uns fast alltäglich, Eltern sagen zu müssen, dass wir mit einem Medikament viel Erfahrung haben, es aber formal für ihr Kind nicht zugelassen ist“, sagt Kinderarzt Daniel Weghuber, der Vorstand der Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde in Salzburg. Und er fügt hinzu: „Diese Situation wird nun am Beispiel der Covid-Impfung auch öffentlich diskutiert, worüber ich nicht unglücklich bin: Denn es zeigt nicht nur, womit wir als Kinderärzte und -ärztinnen konfrontiert sind, sondern auch, was es alles braucht, damit ein Medikament oder ein Wirkstoff zur Anwendung kommt – und wo die Defizite sind.“ Das sogenannte Off-Label-Use, die Anwendung eines Arzneimittels „außerhalb der Zulassung“, ist daher nicht nur legal, sondern auch notwendig. Für die gesamte Pädiatrie hat nur etwa die Hälfte aller bedeutsamen Medikamente eine formale pädiatrische Zulassung. Es bedarf also erhöhter Sorgfalts- und besonderer Aufklärungspflichten durch den behandelnden Arzt oder die Ärztin. „In der Kindernotfallmedizin besteht hier nicht nur das Recht, sondern auch die Verpflichtung, unter entsprechenden Bedingungen ein Medikament ohne Zulassung zu verschreiben, wenn es dem anerkannten Stand der medizinischen Wissenschaft entspricht“, betont Weghuber.

Der Bedarf an klinischen Studien zur Entwicklung kindgerechter Medikamente und Therapien ist also nach wie vor groß, das bestätigt auch Florian Lagler. Der Facharzt für Kinder- und Jugendheilkunde, ebenso FA für Pharmakologie und Toxikologie, leitet das PMU-Institut für angeborene Stoffwechselerkrankungen und das Clinical Research Center Salzburg (CRCS), zuständig auch für die Betreuung medizinischer Studien. Die gesetzlichen Grundlagen zu klinischen Studien haben sich mittlerweile europaweit geändert: Geht es um die Prüfung und Zulassung neuer Medikamente, müssen nun die Pharmaunternehmen Stellung beziehen, ob dieses Medikament auch für Kinder geeignet sein könnte – dann nämlich sind Kinderstudien verpflichtend. Ein wichtiger Fortschritt, betonen beide Kinderärzte, aber es werde dauern, bis sich das in vollem Umfang auswirkt. Florian Lagler: „Der Pharmamarkt hat sich über Jahrzehnte hinweg am erwachsenen Patienten orientiert, der Medikamentenbedarf ist hier weit

höher und die benötigte Dosis bei Kindern geringer. Klinische Studien mit Kindern sind außerdem viel komplizierter, nicht nur aus rechtlicher und ethischer Sicht. Die gleichen Erkrankungen treten seltener auf, erwünschte und unerwünschte Wirkungen von Arzneimitteln können sich bei Kindern ganz anders äußern und vor allem sind kindliche Patienten viel unterschiedlicher: Ein Neugeborenes kann man mit einem Jugendlichen nur sehr bedingt vergleichen.“ Florian Lagler ist auch im Ärzteteam für die Plattform „Kindermedika.at“ der Österreichischen Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde aktiv, wo sich Kinderärzte und -ärztinnen ausführlich über die wichtigsten Medikamente informieren können.

Die Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde in Salzburg als multidisziplinäre Schwerpunkteinrichtung genießt ei-

Jedes Kind kann wie ein eigenes Forschungsprojekt sein.

Saskia Wortmann

nen hervorragenden Ruf weit über Österreich hinaus, sie ist weltweit vernetzt. Daniel Weghuber als neuer Vorstand hat von seinem Vorgänger Wolfgang Sperl – jetzt Rektor der Paracelsus Medizinischen Privatuniversität – auch ein Kompetenzzentrum übernommen, das zu den wenigen spezialisierten Zentren für Erkrankungen im Energiestoffwechsel weltweit gehört. Geforscht wird in Bereichen wie Tumorstoffwechsel, mitochondrialer Energiestoffwechsel oder Adipositas, wobei auch eng mit den Partnern der Erwachsenenmedizin am Universitätsklinikum zusammengearbeitet wird. „Die Adipositas ist ein wichtiger Forschungsschwerpunkt von Daniel Weghuber. Als klinischer Prüfarzt verantwortet er derzeit eine weltweite multizentrische Studie zur Prüfung von Medikamenten zu dieser erworbenen Stoffwechselerkrankung, „eine andere Pandemie, wo unsere jahrelange Expertise gefragt ist und wir nur im großen Netzwerk agieren können“, so Weghuber. Die Adipositas ist sein Forschungsschwerpunkt, als klinischer Prüfarzt verant-

wortet er derzeit eine weltweite multizentrische Studie zur Prüfung von Medikamenten zu dieser erworbenen Stoffwechselerkrankung – „eine andere Pandemie, wo unsere jahrelange Expertise gefragt ist und wir nur im großen Netzwerk agieren können“.

Bei den angeborenen seltenen Stoffwechselerkrankungen ist es dagegen unmöglich, große Studien zu konzipieren. Man suche daher eigene Wege und „da kann jedes Kind wie ein eigenes Forschungsprojekt sein“, meint Saskia Wortmann, „Forscherin des Jahres“ der PMU und wichtige Mitarbeiterin im Ärzteteam. Dazu braucht es die Bereitschaft, detektivisch zu arbeiten, die Expertise, das auch zu können, und die Teamarbeit mit unterschiedlichem Detailwissen, davon ist der Klinikvorstand überzeugt: „Bei uns sind von der spezialisierten Genetik bis hin zur Biochemie und vom biochemisch versierten Arzt oder der Ärztin bis zum jeweiligen pädiatrischen Fachbereich alle Disziplinen vertreten, das macht uns hier aus. Wir setzen uns zusammen und planen gemeinsam, wie wir das Problem lösen können“. So konnte auch das Problem einer Entwicklungsstörung bei der kleinen Sarah durch ein feingetuntetes blutzuckersenkendes Medikament aus der Erwachsenenmedizin gelöst und die kleine Patientin völlig geheilt werden. „Wir fragen uns oft, was gibt es bereits, das wir möglicherweise auch für unsere Kinder einsetzen könnten? Man nennt das ‚Drug Repurposing‘, gemeint ist hier quasi das ‚Umfunktionieren von Groß auf Klein‘, oft mehr als nur eine Notlösung.“ Sarahs Erfolgsgeschichte wurde vor zwei Jahren publiziert und ging um die ganze Welt.

Ein Gespräch mit Experten aus der Kinder- und Jugendheilkunde ohne die Frage nach der Impfung gegen Covid-19 ist derzeit nur schwer möglich. Florian Lagler und Daniel Weghuber haben Kinder sowohl mit zehn als auch mit zwölf Jahren. Impfen, ja oder nein? Die älteren Kinder sind geimpft, auch mit deren Einverständnis und nach intensiver Beschäftigung mit dem Thema, bestätigen beide Kinderärzte. Und weil sich abzeichnet, dass die Zulassung für Sechsbis Zehnjährige bald bevorsteht, warten Lagler und Weghuber ab. Nach allen aktuellen Erkenntnissen zum Krankheitsverlauf, zum Risiko der Übertragung wie auch zur Sicherheit der Impfung gebe es keinen Grund, von der Empfehlung der Europäischen Arzneimittelagentur und der Fachgesellschaften abzuweichen.



Professor Daniel Weghuber, Vorstand Universitätsklinik Kinder- und Jugendheilkunde. BILD: SN/PMU



Dozent Florian Lagler, Leiter CRCS, PMU-Institut für angeborene Stoffwechselerkrankungen. BILD: SN/PMU