



## **INFORMATIONEN FÜR FAMILIEN**

### **Der sog. „Off-Label-Gebrauch“ von Medikamenten**

**E**ltern stellen beim Lesen des Beipackzettels häufig fest, dass ein bestimmtes Medikament nur für eine bestimmte Altersgruppe zugelassen ist. Dies betrifft in besonderer Weise moderne, neue Medikamente, die häufig deutlich besser wirken und weniger Nebenwirkung aufweisen. Verstehen und interpretieren kann man die Zulassungen für bestimmte Altersgruppen nur bei Kenntnis des Deutschen Arzneimittelgesetzes.

**D**as Deutsche Arzneimittelgesetz ist eines der strengsten der Welt. Es wurde in der Folge des so genannten „Contergan-Skandals“ entwickelt, als ein Beruhigungsmittel schwere Missbildungen bei Kindern hervorrief, wenn Mütter es während der Schwangerschaft eingenommen hatten. In der Folge erhielten nur solche Medikamente die Marktzulassung, die eingehend und aufwändig klinisch geprüft wurden. Die Zulassungen galten i.d.R. nur für Erwachsene, eine Zulassung für Kinder macht eingehende klinische Prüfungen bei dieser Altersgruppe erforderlich. Solche klinischen Prüfungen sind sehr aufwändig und extrem teuer. Die Kosten hierfür muss der Hersteller tragen. Die Firmen werden diesen Aufwand verständlicherweise nur dann betreiben, wenn die Kosten durch den Verkauf wieder eingeholt werden können. Dadurch entstand die schwierige Situation, dass für ein Kind, je jünger und kränker es ist, desto seltener ein offiziell zugelassenes modernes Medikament zur Verfügung steht und die Verordnung nur „Off-Label“, d.h. außerhalb der Zulassung, erfolgen kann. In der gesamten Kinder- und Jugendmedizin in Deutschland liegt die Zahl der verordneten Off-Label-Medikamente bei 50 %, auf Neugeborenen-Stationen sogar bei 90 %. Für  $\frac{1}{3}$  jener Substanzen, die laut Weltgesundheitsorganisation (WHO) als „essenziell“ gelten, fehlt eine

Lizenz für den Gebrauch bei Kindern und Jugendlichen.

**N**atürlich bedeutet die fehlende Marktzulassung nicht automatisch, dass ein Mittel gefährlich oder gar verboten wäre. Manche Antibiotika wurden z.B. über Jahrzehnte ohne formale Zulassung Kindern verschrieben, es besteht eine umfassende klinische Erfahrung über Wirkung und Nebenwirkungen, die sogar in jedem Lehrbuch stehen. Das bedeutet, dass ein Mittel wie z.B. Ampicillin, obwohl nicht offiziell für Kinder und Jugendliche zugelassen, viel sicherer sein kann als ein brandneues Präparat, das offiziell zugelassen, in der Praxis jedoch noch wenig erprobt ist.

Zu bedenken ist auch, dass schon sehr lange Jahre auf dem Markt befindliche Medikamente, die vor Inkrafttreten des Arzneimittelgesetzes bereits eingeführt waren, zwar die offizielle Zulassung für Kinder erhielten, die wissenschaftlichen Daten und klinischen Erfahrungen aber weitaus schlechter sind als bei Medikamenten, die offiziell nicht die Kriterien der Zulassung erfüllen.

**S**ich streng nur an die offiziellen Zulassungskriterien zu halten, kann im konkreten Fall bedeuten, einem jungen Patienten eine wirksame und nebenwirkungsarme Hilfe aus formalen Gründen vorzuenthalten. Hier gibt es höchstrichterliche Entscheidungen, dass das Wohl der Patienten höher anzusiedeln ist als der gesetzliche Status eines Medikamentes. Es gibt viele Beispiele, dass ein Medikament, welches für Kinder offiziell nicht zugelassen ist, lebensrettend sein kann. Es gibt auch Beispiele, dass mit Medikamenten, die für bestimmte Erkrankungen zugelassen sind, bei ganz anderen Erkrankungen hervorragende Behandlungserfolge erzielt werden können.

Lange Zeit waren die Krankenkassen in Kenntnis dieser Hintergründe recht großzügig, haben die Praxis des Off-Label-Gebrauchs toleriert und die Behandlungskosten erstattet. In Zeiten der knappen Kassen sperren sie sich jedoch zunehmend häufiger. Der Arzt steht in dem Konflikt, entweder einem Patienten die bestmögliche Hilfe angedeihen zu lassen, was sowohl rechtliche als auch finanzielle Konsequenzen (Regress) nach sich ziehen kann, oder aber dem Gesetz formal genüge zu tun. Andererseits ist er durch Entscheidungen des Bundessozialgerichts gehalten, dem Patienten die aufgrund des aktuellen wissenschaftlichen Standes optimale Therapie zu bieten, was die Off-Label-Verordnung häufig erforderlich macht.

Durch die Gesundheitspolitik der letzten 15 Jahre sind die Ärzte in eine sehr schwierige Situation gedrängt worden. Sie müssen ihren Patienten die bestmögliche Therapie bieten, das verlangt die ärztliche Ethik und nicht zuletzt auch die deutsche Sozialgesetzgebung. Auf der anderen Seite trägt der Arzt das Risiko mit allen rechtlichen Konsequenzen alleine und muss evtl. die Kosten für diese Behandlung auch noch aus eigener Tasche zahlen.

Ohne zulassungsüberschreitenden Einsatz oder der zulassungsüberschreitenden Anwendung von Arzneimitteln ist eine moderne Medizin, die den wissenschaftlichen Fortschritt berücksichtigt, nicht möglich. Die Pharmaunterneh-

men entscheiden selbst, ob sie die Zulassung der Medikamente auch für Kinder beantragen.

Die europäische Zulassungsbehörde EMEA in London will in Zukunft alle Herstellerfirmen von Medikamenten verpflichten, ihre Mittel auch bei Kindern in sorgfältigen Studien zu testen und die Informationen dann auch zur Verfügung zu stellen. Allerdings braucht dies einen langen Vorlauf. Es wird einige Zeit beanspruchen, bis die wichtigsten Medikamente die sehr teuren, sehr aufwändigen und oft nur schwierig durchführbaren Studien bei Kindern und Jugendlichen durchlaufen haben.

**Schlussfolgerung:** Die Tatsache, dass ein Medikament für eine bestimmte Altersgruppe oder für eine bestimmte Erkrankung keine Zulassung hat, bedeutet nicht automatisch, dass aussagekräftige klinische Erfahrungen und wissenschaftliche Daten fehlen. Umgekehrt bedeutet das Vorliegen einer offiziellen Zulassung nicht automatisch, dass genügend Erfahrungen im klinischen Alltag vorliegen.

Sie können davon ausgehen, dass Ihr Arzt das Medikament, das er ihrem Kind verordnet, stets sehr sorgfältig ausgewählt hat. Er kennt die Wirkungen und Nebenwirkungen und orientiert sich nicht an rigiden rechtlichen Bestimmungen, sondern ausschließlich am Wohle ihres Kindes. Vor Beginn der Behandlung wird er Ihnen konkreten die Wahl des Medikaments erklären.