

**Stellungnahme der Deutschen Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin e. V. (DGKJ)  
zum Entwurf des Begutachtungsleitfadens „Arzneimittelversorgung:  
Hinweise zum Off-Label-Use“ der Medizinischen Dienste**

Wir danken für die Möglichkeit, zum oben genannten Entwurf aus Sicht der wissenschaftlichen Kinder- und Jugendmedizin Stellung nehmen zu können.

Für die Prüfung durch den MDK, ob eine Behandlung außerhalb der Zulassung (off-label Behandlung) auf Kosten der GKV erstattet wird, werden in dem genannten Entwurf eindeutige Kriterien definiert. Deren Orientierung an der Rechtsprechung und klaren wissenschaftlichen Kriterien begrüßen wir ausdrücklich.

In der vorgelegten Version des Begutachtungsleitfadens werden Kinder weiterhin uneingeschränkt so behandelt wie Erwachsenen, d. h. der off-label Einsatz von Arzneimitteln durch die gesetzlichen Krankenkassen ist nur erstattungsfähig, wenn

- es um die Behandlung einer schwerwiegenden (lebensbedrohlichen oder die Lebensqualität auf Dauer nachhaltig beeinträchtigenden) Erkrankung geht,
- keine andere Therapie verfügbar ist und
- aufgrund der Datenlage die begründete Aussicht besteht, dass mit dem betreffenden Präparat ein Behandlungserfolg (kurativ oder palliativ) erzielt werden kann.

Für Letzteres wird klargestellt, dass eine „Zulassungsreife“ für das zu erstattende Arzneimittel vorliegen muss.

Die besonderen Probleme der off-label Anwendung bei Kindern und Jugendlichen werden nicht adressiert.

Vor allem im Kindesalter, aber auch bei Jugendlichen besteht es häufig die Notwendigkeit einer zulassungsüberschreitenden Verordnung von Medikamenten, um in dieser Altersgruppe sachgerecht und den wissenschaftlichen Erkenntnissen entsprechend zu behandeln. Nicht selten handelt es sich um einen well established use. Die intensiven Bemühungen der letzten Jahre auf verschiedenen Ebenen haben zwar zu einer Zunahme der Zulassungen speziell für die pädiatrischen Altersgruppen geführt, wenn es um neue, primär für Erwachsene entwickelte Medikamente ging; gleichzeitig hat sich aber auch gezeigt, dass es für viele, vor allem alte Arzneimittel (Generika) auch zukünftig keine Zulassung in den relevanten Indikationen geben wird.

Wenn ausreichende Daten für den Einsatz bei Kindern in der wissenschaftlichen Literatur vorliegen, ist eine off-label Anwendung gerechtfertigt, wird verschrieben und in der Regel auch von den Kostenträgern auf Kosten der GKV vergütet. Dies betrifft auch Indikationen, die nicht gesetzlich vorgegeben Kriterien für eine off-label Anwendung (v. a. lebensbedrohliche Krankheit) entspricht.

Laut dem vorliegenden Begutachtungsleitfaden erfolgt eine Bewertung zum Stand der Wissenschaft ausschließlich über die off-label-Kommission beim BfArM. Bei positivem Ergebnis wird das Arzneimittel in die Arzneimittelrichtlinie aufgenommen. In diesem Fall kann die Erstattung trotz off-label Anwendung erfolgen. Für die Pädiatrie ist dieses Vorgehen aber inadäquat. Sehr häufig stehen auch bei nicht schwerwiegenden Erkrankungen nur off-label Therapien zur Verfügung, sodass off-

label-use bei der Behandlung von Patientinnen und Patienten im Kindesalter häufig Anwendung findet, auch wenn die Datenlagen nicht immer einer „Zulassungsreife“ entsprechen.

Nützlich für die Anwendung von Medikamenten bei Kindern, auch außerhalb der Zulassung, sind die in dem Kinder-Arzneimittelinformationssystem (Dosisdatenbank) [www.kinderformularium.DE](http://www.kinderformularium.DE) hinterlegten Informationen. Mit Hilfe dieser Plattform kann eine evidenzbasierte Anwendung für Medikamente bei Kindern und Jugendlichen, insbesondere eine kindgerechte Dosierung abgerufen werden.

Eine Besonderheit in dem vorgelegten Entwurf stellt die Einführung des Begriffes „singuläre Erkrankung“ dar, der nicht gleichzusetzen ist mit „seltenen“ Erkrankungen. Eine Krankheit, die extrem selten auftritt, entzieht sich der systematischen wissenschaftlichen Untersuchung, sodass für diese keine wissenschaftlich auf ihre Wirkung überprüfte Behandlungsmethode zur Verfügung stehen kann. Hier müssen u. E. ein entsprechendes Register und eine verpflichtende Dokumentation eingeführt werden.

Nach Einschätzung der DGKJ adressiert der vorliegende Algorithmus die kinder-spezifischen Probleme nicht. Er gilt allenfalls für neue, kostenintensive Medikamente, die dann vielleicht auch bei Kindern und Jugendlichen off-label eingesetzt werden. Um die Eignung des Algorithmus bzw. die für die Pädiatrie-notwendigen Änderungen zu spezifizieren und zu adressieren bedarf es eines intensiven Austausches mit den Experten der verschiedenen (pädiatrischen) Disziplinen.

Zusammenfassend möchten wir betonen, dass der Entwurf der besonderen Situation der Arzneimittelversorgung bei Kindern und Jugendlichen wie ausgeführt nicht gerecht wird. Wir fordern, dass Kinder von dem hier vorgelegten Leitfaden ausgenommen und in einem gesonderten Leitfaden betrachtet werden.

Kontakt:

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

Prof. Dr. Ursula Felderhoff-Müser, Präsidentin

Prof. Dr. Antje Neubert, Prof. Dr. Wolfgang Rascher, DGKJ- Kommission für Arzneimittelsicherheit im Kindesalter

politik@dgkj.de, [www.dgkj.de](http://www.dgkj.de)

Diese Stellungnahme wird unterstützt von der Gesellschaft für Kinder- und Jugendrheumatologie (GKJR) sowie der Gesellschaft für Pädiatrische Gastroenterologie und Ernährung (GPGE) unterstützt.