

# herzblatt kompakt

## Kinder sind keine kleinen Erwachsenen – arterieller Lungenhochdruck bei Kindern

Arterieller Lungenhochdruck, kurz PAH, ist eine schwere Krankheit. Sowohl Kinder als auch Erwachsene sind davon betroffen. Während für Erwachsene zahlreiche Medikamente zur Behandlung zugelassen sind, zeichnet sich bei Kindern in der Europäischen Union ein anderes Bild: Lediglich zwei Medikamente – Bosentan und Sildenafil – sind auch zur Verwendung bei Kindern zugelassen. Experten gehen davon aus, dass abhängig von Alter und Land zwischen 50 bis 80 Prozent der Kinder „Off-Label“ therapiert werden, das heißt, sie werden mit Medikamenten behandelt, die von den Behörden nicht für sie, sondern „nur“ für Erwachsene zugelassen sind. Den Eltern der Kinder bleibt oft keine Wahl, und sie vertrauen auf die Erfahrung ihres Arztes. Dabei sind sich Eltern, Ärzte, Forscher, Zulassungsbehörden und Hersteller einig: Die beste Therapie für ein Kind ist eine zugelassene Therapie.

### Internationales Treffen in London

Im Sommer 2017 haben die Europäische Arzneimittelagentur (EMA), die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA sowie die kanadische Zulassungsbehörde „Health Canada“ in London eine gemeinsame Konferenz organisiert, während der die Positionen von Zulassungsbehörden, Forschern, behandelnden Ärzten, klinischen Wissenschaftlern und Pharmaindustrie gehört wurden. Patientenvertreter konnten die Situa-

tion und Sorgen der Patienten sowie der Eltern betroffener Kinder schildern. Auch eine Vertreterin der Deutschen Herzstiftung zählte zu den Teilnehmern des EMA-Workshops in London. Sie referierte darüber, wie Patienten beziehungsweise Eltern die Teilnahme von Kindern an klinischen Studien beurteilen.

### Medikamente für Kinder

Doch was steht der Zulassung von Medikamenten für Kinder eigentlich im Wege, oder was macht die Zulassung von Medikamenten bei ihnen zu etwas Besonderem? Zunächst einmal sind Kinder keine kleinen Erwachsenen: Medikamente können auf den Körper des Kindes anders wirken, sie können sich anders verteilen und anders verstoffwechseln. Es genügt also nicht immer, anhand des Körpergewichts die Dosis herunterzurechnen – die Fachleute sprechen von „Extrapolation“. Die Behörden wiederum haben sicherzustellen, dass Arzneimittel für Kinder von hoher Qualität sind, auch unter ethischen Gesichtspunkten gründlich untersucht und ordnungsgemäß zugelassen werden. Eine solch umfassende Bewertung setzt robuste und relevante klinische Daten voraus.

Genau hier liegt eines der Probleme der Zulassung von Medikamenten für Kinder: Die Patientengruppen sind oft sehr klein, sodass es schwierig ist, genügend Patienten für eine Zulassungs-

studie zu rekrutieren. Es gibt zudem nur wenige qualifizierte Zentren, die derartige Studien in einer angemessenen Zeit durchführen können. Darüber hinaus stehen Eltern Studien, welche den Wirkstoff mit einem Placebo (Scheinmedikament) vergleichen, skeptisch gegenüber; und sie sorgen sich, nicht ausreichend über die Risiken neuer Medikamente aufgeklärt zu werden.

### Einheitliche Anforderungen

Während des Workshops in London diskutierten die Teilnehmer beispielsweise darüber, wo konkrete Wissenslücken bestehen und wie sie zu schließen sind, wie fehlende Daten erhoben werden können oder welche Endpunkte bei Studien zur Zulassung von Medikamenten für Kinder geeignet sind. Weitere wichtige Fragen waren, ob invasive Untersuchungen wie Herzkatheter oder Blutentnahmen in solchen Studien vermieden werden können, oder wie hilfreich Register sind, in denen Eltern medizinische Daten ihrer Kinder in regelmäßigen Abständen eintragen. Das Ziel der Konferenz war es, die vielen Anforderungen möglichst zu vereinheitlichen und so dazu beizutragen, den zeitnahen und effizienten Zugang zu zugelassenen Therapien für Kinder bald Wirklichkeit werden zu lassen.

*Christine Dehn*

Das Thema „Lungenhochdruck bei Kindern und Jugendlichen“ ist Schwerpunkt der Ausgabe 1.2018 von *herzblatt*.



Bereits zum zehnten Mal trafen sich Kinder und Jugendliche mit angeborenem Herzfehler oder einer anderen chronischen Erkrankung zu einer ereignisreichen Ferienwoche.

## Jubiläumsausgabe: „KidsTUMove“ – Sommercamp 2017

„Aller guten Dinge sind drei.“ Das dachten sich wohl auch die Verantwortlichen der Anton Schrobenhauser-Stiftung, dank deren Zusage das Sommercamp „KidsTUMove“ im Jahr 2017 bereits zum dritten Mal auf der Gelände der Stiftung in Unterhaching bei München stattfinden konnte. So konnten Anfang August dieses Jahres 19 Kinder und Jugendliche mit angeborenem Herzfehler oder einer anderen chronischen Erkrankung ihre Betten im neu gestalteten Baum- und Seehaus auf dem großen Stiftungsgelände beziehen.

Die Erwartung der Teilnehmer an eine ereignisreiche Woche und ihre Freude über ein Wiedersehen war ebenso groß wie das der Ärzte und

Sportwissenschaftler des Lehrstuhls für Präventive Pädiatrie der Technischen Universität München um Professor Renate Oberhoffer, die das Camp gemeinsam leiteten. Dank der Unterstützung der Kinderherzstiftung der Deutschen Herzstiftung konnte das Expertenteam die Kinder und Jugendlichen im Alter von sieben bis 18 Jahren rund um die Uhr begleiten und medizinisch betreuen. Insgesamt hat das KidsTUMove-Sommercamp bereits zum zehnten Mal stattgefunden.

### Camp-Olympiade

Das Programm für die Jubiläumsausgabe der beliebten Veranstaltung haben

Studierende der Fakultät für Sport- und Gesundheitswissenschaften im Rahmen eines Seminars ausgearbeitet. Im Mittelpunkt standen diesmal die Programmpunkte „Spaß an Bewegung“, „gesunde Ernährung“, „Zusammenhalt in der Gruppe“ und „Stärkung des Selbstbewusstseins“. Unter dem sportlichen Motto „Camp-Olympiade“ fanden täglich Spiele zu Land und zu Wasser statt, bei denen die verschiedenen Teams um Punkte kämpften. Die Siegerehrung vor versammeltem Publikum am Abreisetag war für die jungen Sportler ein angemessener Abschluss: Stolz präsentierten sie den Eltern die gewonnenen Urkunden.

*Dominik Gaser*

## Sozialrechtliche Beratung in Zahlen

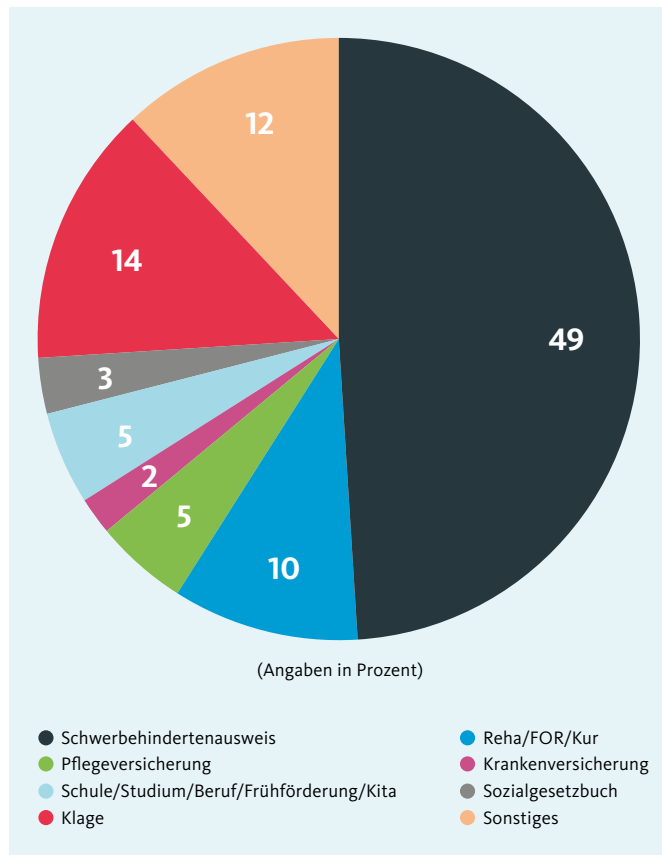
Die erfolgreiche Arbeit der Sozialrechtlichen Beratungsstelle von Kinderherzstiftung und Herzkind e.V. dokumentieren die im letzten Jahresbericht veröffentlichten Zahlen.

Im Kalenderjahr 2016 führten die Mitarbeiter insgesamt 501 Beratungsgespräche. Schwerpunktthemen waren Fragen zum Schwerbehindertenausweis, zu Rehabilitationsmaßnahmen und familienorientierten Kuren (FOR), zur Pflege- und Krankenversicherung, Auskünfte rund um die Ausbildung, zu Eingliederungshilfen und Rentenansprüchen. Die Beratungen erfolgten überwiegend telefonisch oder per E-Mail, vereinzelt fanden auch persönliche Beratungen in den Räumlichkeiten von Herzkind e.V. in Braunschweig statt. Die Ratsuchenden sind überwiegend Angehörige, insbesondere Eltern herzkranker Kinder.

Vor allem Eltern, die das erste Mal mit der Diagnose „angeborener Herzfehler“ konfrontiert werden, haben einen umfassenden Beratungs- und Gesprächsbedarf. Zunehmend richten sich auch Erwachsene mit angeborenem Herzfehler (EMAH) an die Beratungsstelle mit Themen wie EMAH-qualifizierte Ärzte, berufliche Perspektiven, Studium, Nachteilsausgleich oder Frühverrentung.

Rund ein Drittel der Anfragen beinhalten eine konkrete Fragen, die mit einem Gespräch oder einer Mail beantwortet werden kann. Ein weiteres Drittel bezieht sich auf komplexere Sachverhalte, die ausführlichere Antworten notwendig machen, ein letztes Drittel zieht weitere Beratungsgespräche nach sich, insbesondere in Widerspruchsangelegenheiten. Im Kalenderjahr 2016 haben die Mitarbeiter der Beratungsstelle insgesamt 52 Widerspruchsverfahren begleitet.

„Immer wieder wird uns klar, wie hilflos die Betroffenen der Komplexität des Themengebiets der sozialrechtlichen Leis-



Dem Schwerbehindertenausweis gelten die meisten Anfragen.

tungen gegenüberstehen und wie unsicher sie im Umgang mit Ämtern und Behörden aber auch mit ihren Ärzten sind“, heißt es im Fazit des Jahresberichtes. Das Ziel der Beratungsstelle sei es, den Betroffenen einen Handlungsfaden in die Hand zu geben, der sie nach dem Prinzip „Hilfe zur Selbsthilfe“ in die Lage versetze, ihre Probleme erfolgreich zu lösen.

(red)



Das erfolgreiche Verkaufsteam (v.l.n.r.): Susanne Lang, Adelheid König, Sandra Reder, Inge Schwienteck, Lydia Merz und Elke Lukas

## Waffeln für den guten Zweck

An einem verkaufsoffenen Sonntag präsentierte sich die Elterninitiative HerzBande im Frühjahr in einem Kaufhaus in Gaggenau, Baden-Württemberg, der Öffentlichkeit. Während des Waffelverkaufs kamen über 300 Euro zugunsten herzkranker Kinder zusammen.

Lydia Merz



## JEMAH: Neuer Vorstand, engagierte Ziele

Mit einem neuen Vorstand setzt sich die „Bundesvereinigung Jugendliche und Erwachsene mit angeborenem Herzfehler e.V.“ (JEMAH) weiterhin intensiv für Patienten mit angeborenem Herzfehler ein. „Transparent, offen und zielorientiert“ wolle die Vereinigung dafür arbeiten, die Bedingungen für Betroffene in Deutschland weiter zu verbessern, nennt der Erste Vorsitzende Daniel Kobudzinski das Ziel. Dies könne am besten über das „Aktionsbündnis angeborene Herzfehler“ realisiert werden. Alle sechs bundesweit agierenden Patientenorganisationen setzen sich in diesem Bündnis unter dem derzeitigen Vorsitz der Kinderherzstiftung gemeinsam für Menschen mit angeborenem Herzfehler ein.

Kontakt: [info@jemah.de](mailto:info@jemah.de), [www.jemah.de](http://www.jemah.de) (red)



## Reiten für die Kinderherzstiftung

Wenn Janine Lamboy und ihr Pferd Stürmchen künftig an Turnieren teilnehmen, sind auch die Deutsche Herzstiftung und die Kinderherzstiftung immer dabei: Auf der rechten Seite der neuen Sattelunterlage von Stürmchen ist das Logo der Kinderherzstiftung aufgestickt, auf der linken Seite findet sich das Logo der Deutschen Herzstiftung. „Reiten ist trotz künstlicher Herzklappe, Blutverdünnung und Herzschwäche möglich“, schreibt uns Janine Lamboy: „Das Herz muss nur stark genug für Pferde schlagen.“ (red)



Mütterausflug: Ferien vom Alltag

## Blütenträume im Park

Der diesjährige Mütterausflug der Karlsruher Elterninitiative „HerzBande“ hatte die Gartenschau in Bad Herrenalb zum Ziel. Die Teilnehmerinnen genossen den neu gestalteten Kurpark, das historische Klostersviertel, die Blütenträume und den Schwarzwaldflair und freuten sich über einen abwechslungsreichen und geselligen Tag. Lydia Merz



## Die Kinderherzstiftung dankt

Geburtstage, Hochzeiten oder Firmenjubiläen – es gibt viele Anlässe, ein Fest zu feiern. Und jedes Fest kann ein Anlass sein, anstelle von Geschenken um Spenden zu bitten. Die Spenden an die Kinderherzstiftung sind Grundlage unserer Arbeit. Nur so können wir unabhängig über Herzkrankheiten und deren Behandlung informieren, über neue Medikamente oder Ernährungstipps berichten und Patientinnen und Patienten zu Wort kommen lassen. Welchen Anlass Sie auch immer wählen: Stets setzen Sie mit Ihrem Spendenauftrag ein Zeichen für unsere Arbeit zugunsten von Menschen mit angeborenem Herzfehler.

Ohne Spenden wäre die Arbeit der Kinderherzstiftung nicht denkbar. Herzlich wollen wir uns deshalb bei allen bedanken, die die Kinderherzstiftung und ihre Arbeit in letzter Zeit bei Anlässen wie Geburtstagen, Pensionierungen, Diamantenen Hochzeiten oder Trauerfällen mit einer Spende bedachten.

In den letzten Monaten waren das: Maria Bohmbach, Quickborn; Rosemarie Eversmann, Hamburg; Hannelore Rehr, Hamburg; Hans-Joachim Moster, Feldkirchen-Westerham; Erna und Georg Wicke, Felsberg; Günter Achen, Gießen; Heribert Brühl, Essen; Dieter Claassen, Sande; Hans-Günter Heß, Zülpich; Thomas Linn, Rudesheim; Erika Manzey, Preetz; Stylianos Savakis, Köln; Harald Rudolf Spang, Monzelfeld; Gisela Thomalla, Berlin. (ko)