

Patientensicherheit von Anfang an

Sichere Versorgung für jedes Neugeborene und jedes Kind

Virtuelle und interaktive Informationsveranstaltung des vfa, 15. September 2025

„Patientensicherheit von Anfang an – sichere Versorgung für jedes Neugeborene und jedes Kind“ lautet der Titel der Veranstaltung, zu welcher der Verband forschender Pharma-Unternehmen (vfa) am 15. September anlässlich des Welttags der Patientensicherheit einlädt. Expertinnen und Experten stellen in Impulsvorträgen ihre Perspektive auf dieses vielschichtige Thema dar.



„Patientensicherheit darf kein Randthema sein“

„Wir müssen als Politik richtig zuhören“, betont **Simone Borchardt**, gesundheitspolitische Sprecherin der CDU/CSU-Bundestagsfraktion, in ihrem Grußwort. Oftmals liegen Vorschläge auf dem Tisch, werden aber nicht aufgegriffen und umgesetzt, lautet ihre (selbst)kritische Politanalyse. Für die CDU-Vertreterin ist die Veranstaltung daher ein wichtiges Forum für den Austausch und um Expertise aus

unterschiedlichen Bereichen zusammenzubringen. Ihr grundsätzlicher Appell lautet: „Patientensicherheit darf kein Randthema sein.“

Verbesserungsbedarf sieht Borchardt hierzulande etwa bei der Sicherheitskultur. Wichtig sei, dass es keine Schuldzuweisungen gebe. Fehler dürfen nicht tabuisiert, sondern müssten analysiert werden. Eine wichtige Rolle spielt bei der Patientensicherheit außerdem die Digitalisierung – auch hier bestehet noch deutlicher Verbesserungsbedarf: „Wir können die Daten momentan nicht zusammenführen.“ Über das Thema elektronische Patientenakte müsse man in ganz anderer Form reden. Grundsätzlich plädiert die Unionspolitikerin für eine „vernünftige cloudbasierte Lösung“, um die Daten aus den verschiedenen Sektoren zusammenzuführen. „Datenschutz darf eine bessere Versorgung nicht verhindern“, verlangt sie.

Auf ihrer Agenda steht zudem die Prävention. Diese führt immer noch ein Schattendasein, „da müssen wir besser werden“. Borchardt will präventive Strukturen, etwa in Schulen oder Kitas, ausgestalten. Auch die Gesundheitskompetenz sieht sie als wichtigen Aspekt – und ebenfalls deutlich



Patientensicherheit von Anfang an – Sichere Versorgung für jedes Neugeborene und jedes Kind

Informationsveranstaltung des vfa anlässlich des Welttags der Patientensicherheit, 15. September 2025

steigerungsfähig. Dennoch bleibt sie optimistisch und prognostiziert, dass die nächsten Generationen besser und gesünder aufwachsen werden, weshalb sie langfristig von sinkenden Kosten ausgeht. Mit den Worten „Patientensicherheit braucht Orientierung“

wirbt sie außerdem für die Pläne von Gesundheitsministerin Nina Warken, ein Primärarztsystem einzuführen. Grundsätzlich, so Borchardt, seien mutige Entscheidungen der Politik, Tempo und eine klare Ausrichtung gefragt. „Dafür stehen wir jetzt.“

„Patient Safety in all Health Policies“

Dr. Ruth Hecker, Vorsitzende des Aktionsbündnisses Patientensicherheit, betont in ihrem Impuls den Querschnittscharakter des Themas Patientensicherheit. Die bekannte Forderung der Public-Health-Szene „Health in all Policies“ formuliert sie daher wie folgt um: „Patient Safety in all Health Policies.“ Grundsätzlich warnt die Ärztin vor einer Verschlechterung der Patientensicherheit bei kleinen Patienten: „Wenn Kinderarztpraxen schließen, Kinderkrankenhäuser reduziert werden, wenn unter Umständen in Leistungsbereichen die Kinderheilkunde nicht mehr im Vordergrund steht oder vergessen wird, dann sind das systemische Fehler, die eventuell dahinführen, dass Fehlbehandlungen passieren, dass Diagnosefehler passieren.“ Auch Grippewellen brächten das Versorgungssystem oft an seine Grenzen, so Hecker, die von dem enormen Druck berichtet, unter dem ihre Kolleginnen und Kollegen an der Universitätsklinik Essen stehen.

Der Expertin zufolge gibt es eine Reihe von Faktoren, die zu Fehlern in der Behandlung führen können. Sie nennt unzureichende Kommunikation,



Hektik und Stress, Regeluntreue, fehlendes Verantwortungsgefühl sowie fehlendes Wissen. Letzteres bringt sie unter anderem mit Einarbeitungslücken in Zusammenhang. Es existieren außerdem Team-, Patienten- sowie Aufgabenfaktoren. Auch das Arbeitsumfeld könnte eine Rolle spielen, etwa wenn der Zubereitungsplatz für Arzneimittel zu klein sei. Hecker hofft auf digitale Unterstützungssysteme, im Moment seien diese aber noch extrem fehlerbehaftet.

Ein wichtiger Appell der Vorsitzenden des Aktionsbündnisses lautet, die Forschung für Kinder voranzubringen, auch wenn dies nicht einfach sei. Als Beispiele nennt sie: kindgerechte Dosierung, altersgerechte Diagnostik und elternorientierte Kommunikation. „Das ist eminent wichtig, damit wir Patientensicherheit herstellen können – das bedeutet für mich auch personalisierte Medizin.“ Hecker geht es darum, kleine Patienten in ihrer Umgebung zu begreifen, deshalb spielten die Eltern oft eine entscheidende Rolle. Diese könnten Veränderungen an ihrem Kind feststellen und eine Brücke zwischen den Health Care Professionals und dem kranken Kind bauen.



„Darreichungsformen müssen eine wichtigere Rolle spielen“

Dr. Henriette Högl, Geschäftsführerin des Kinder- netzwerkes, stellt in ihrem Vortrag die Betroffenen- perspektive dar. Der Fokus des Selbsthilfedachver- bandes liegt auf chronisch kranken und behinderten Kindern, für die insbesondere eine kontinuierliche und sichere Versorgung von enormer Bedeutung ist. Das Thema Off-Label-Use steht bei Högl ganz oben auf der Agenda, denn damit seien bei Ärzten sowie Eltern große Unsicherheiten verbunden. Für die be- troffenen Familien stelle der Einsatz eines Arzneimit- tels außerhalb des Zulassungsgebietes eine enorme Zusatzbelastung dar: „Zu der Herausforderung mit dem kranken Kind kommt etwas, was so elementar wie die Arzneimittelversorgung ist, noch obendrauf.“

Ein weiteres Problem seien Arzneimitteleng- pässe, die den Familien nur schwer zu vermitteln und für die betroffenen Kinder untragbar seien, so Högl. Auch den Übergang von der stationären zur ambulanten Versorgung identifiziert die Selbst- hilfe-Vertreterin als häufige Schwierigkeit: „Dabei

entsteht ein Bruch, der medizinische Risiken birgt.“ Hinzu komme die für die Familien kaum verständliche Ver- ordnungsbürokratie – etwa, wenn der Kin- derarzt ein ADHS- Medikament nicht mehr verordnen darf, weil ein an- deres Mittel in der Praxis zu selten ver- schrieben werde.



Eine weitere Herausforderung stellen Högl zu- folge ungeeignete Darreichungsformen dar – als Stichwörter nennt sie etwa Größe oder Geschmack von Medikamenten. Die Geschäftsführerin fordert, dass die Darreichungsform bei der Zusatznutzen- bewertung von PUMA-Arzneimitteln eine größe- re Rolle spielen sollte. Ihre Befürchtung: Die ent- sprechend modifizierte Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) werde wieder geändert und damit die bisherigen Erfolge in Frage gestellt. Grundsätzlich verlangt Högl einen intensiveren Austausch mit den Eltern – auch seitens der Politik und des G-BA, um die Perspektive der Betroffenen angemessen zu berücksichtigen. Last but not least weist sie darauf hin, dass die Be- treuung von Kindern mehr Zeit kostet. „Kinder- und Jugendmedizin kann deshalb nicht so abgerechnet werden wie die Erwachsenenmedizin.“



„Off-Label-Use geht uns alle an“

Kinder- und Jugendarzt Jakob Maske berichtet aus dem Alltag seiner kinder- und jugendärztlichen Praxis in Berlin-Schöneberg. Zum Thema Off-La- bel-Use stellt der Bundessprecher und Mitglied des Bundesvorstandes des Berufsverbandes der Kinder- und Jugendärzt*innen ein typisches Beispiel aus sei- ner Praxis vor: ein Kind mit frühkindlichem Asthma. Nach der Leitlinie seien zwei Medikamente zur Be- handlung vorgesehen, beide jedoch nicht zugelas- sen für diese Altersgruppe – „obwohl sie für mich als Mediziner die Mittel der ersten Wahl darstellen“.

Solche Situationen gebe es täglich. Hinzu komme die Ankündigung einer Krankenkasse, den Off-Label-Use verstärkt zu prüfen und Ärzte zu regressieren. Ein weiterer Aspekt, auf den Maske hinweist: Off Label-Use sorge für Misstrauen bei den Eltern, zusätzlicher Redebedarf sei meist die Folge. „Diese Zeit fehlt bei der Behandlung von anderen Patienten“, berichtet der Pädiater. Darauf verzichten sei aber keine Option, denn je besser die Aufklärung, desto mehr Vertrauen und desto besser die Adhärenz.

Patientensicherheit von Anfang an – Sichere Versorgung für jedes Neugeborene und jedes Kind

Informationsveranstaltung des vfa anlässlich des Welttags der Patientensicherheit, 15. September 2025

Ein wichtiges Hilfsmittel für den Mediziner ist das Kinderformularium. Häufig sind Dosierungs-empfehlungen im Off-Label-Bereich sowie kindgerechte Arzneiformen nicht direkt zugänglich. Die Datenbank, die regelmäßig aktualisiert wird, stellt unabhängige, evidenzbasierte Informationen zur Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen zur Verfügung. Zudem enthält das Kinderformularium unter anderem Dosierungs-empfehlungen für Früh- und Neugeborene, Kin-

der und Jugendliche sowie kinderspezifische unerwünschte Arzneimittelwirkungen, Warnhinweise und Kontraindikationen. Maske nutzt das Kinderformularium täglich. Eine verlässliche Finanzierung des Projektes, das derzeit vom Bundesgesundheitsministerium, der Deutschen Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin und der Stiftung Kinderarznei gefördert wird, so heißt es auf der Veranstaltung mehrfach, sei unerlässlich.

Der Niedergelassene geht auch auf Lieferengpässe ein, wovon vor allem Kinderarzneimittel betroffen seien. Beispiel Antibiotika-Säfte: Mediziner seien darauf geschult, die bestmöglichen Antibiotika für das Kind auszuwählen. Aber: „Das ist nicht mehr möglich, weil es teilweise das Mittel der ersten und zweiten Wahl gar nicht mehr gibt“, so Maske. Zwar habe sich die Situation verbessert, so der Mediziner mit Verweis auf eine Taskforce, die in der vergangenen Legislatur unter Prof. Karl Lauterbach initiiert, inzwischen jedoch wieder aufgelöst wurde. Maskes Warnung lautet: „Ich denke, das Problem ist nicht vorbei.“ Positiv erwähnt Maske, dass von der EMA laut W.A.I.T. Indicator über die letzten vier Jahre 66 Orphan Drugs zugelassen wurden, von denen 59 ab Tag eins in Deutschland verfügbar und voll erstattungsfähig sind.



Repurposing von Arzneimitteln

Prof. Stefan Pfister, Direktor Präklinische Kinderonkologie des Hopp-Kindertumorzentrums Heidelberg, erläutert die Herausforderungen der Kinderonkologie, insbesondere bei der Medikamentenentwicklung. Kinder erkranken an anderen Tumorarten als Erwachsene. Kennzeichnend seien zudem sehr kleine Patientenzahlen und viele verschiedene Tumorarten.

Der Mediziner weist außerdem darauf hin, dass die Risiko-Nutzen-Abwägung abhängig von der Schwere der Erkrankung sei: Familien, deren Kind an einer tödlichen Erkrankung leidet, seien bereit, ein sehr viel höheres Risiko in Kauf zu nehmen, um Zugang zu neuen Medikamenten zu bekommen. In der aktuellen Revision der Erklärung von Helsinki ist daher festgehalten, dass medizinische Forschung an Schwangeren, Dementen, Kindern und Jugendlichen in Einzelfällen auch dann erlaubt sei, wenn Therapien zuvor

nicht an Nicht-Vulnerablen erprobt wurden. Solche Einzelfälle könnten lebensbedrohliche Erkrankungen sein, die es bei Erwachsenen nicht gibt, so Pfister. Für ihn ist die Revision ein wichtiger Schritt, schließlich dauere es in der Kinderonkologie bis zu sieben Jahre, bis ein für Erwachsene entwickeltes Krebsmedikament zum ersten Mal bei Kindern eingesetzt wird. Viele Patienten überlebten diese Wartezeit nicht.



Patientensicherheit von Anfang an – Sichere Versorgung für jedes Neugeborene und jedes Kind

Informationsveranstaltung des vfa anlässlich des Welttags der Patientensicherheit, 15. September 2025

Stichwort Medikamentenentwicklung: Ideal seien spezifisch für krebskranke Kinder zugelassene Arzneimittel. Da sich die Entwicklung aufgrund der geringen Patientenzahlen für die Hersteller nicht lohne, gewinnt dem Onkologen zufolge das sogenannte Drug Repurposing – die Weiterentwicklung von Arzneimitteln für weitere Indikationen – an Bedeutung. Pfister erwartet eine Fülle neuer Medikamente, „von denen 70 Prozent auch eine relevante Anwendung für Kinder haben könnten“. Eine Filterung ist daher dringend notwendig. Diese übernimmt ITCC-P4, eine gemeinnützige Organisation, die von zahlreichen großen europäischen Forschungsinstituten und drei Auftragsforschungseinrichtungen getragen wird. Dessen Mission besteht darin, die Aussagekraft präklinischer Tests für die Priorisierung von Krebsmedikamenten bei Kindern zu erhöhen. Mit von Patienten abgeleiteten Modellen wird systematisch getestet, welche der neuen Therapiemodalitäten besonders relevant für

Kinder sein könnte. ITCC-P4 unterstützt als Stakeholder der europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) die Regulatoren bei der Entscheidung unterstützen, welche Medikamente für klinische Studien bei Kindern mit Krebserkrankungen priorisiert werden sollen.



„Kinder sind keine kleinen Erwachsenen“

Dr. Jan-Peer Elshoff von UCB Biosciences GmbH rückt in seinen Ausführungen die besonderen Aspekte von klinischen Studien bei Kindern in den Fokus. „Kinder sind keine kleinen Erwachsenen“, beantwortet er die Frage, warum Studien speziell für Kinder überhaupt notwendig seien. Auch stellten Kinder keine homogene Population dar: Diese reiche von Früh- und Neugeborenen bis hin zu jungen Erwachsenen. Die Kinder werden nicht nur größer und schwerer, auch ihr Metabolismus und Immunsystem veränderten sich, das zentrale Ner-

vensystem reife, der Wirkort eines Arzneimittels könne sich verändern, so Elshoff weiter. „Das alles hat Auswirkungen darauf, wie ein Arzneimittel vom Körper aufgenommen, verteilt und ausgeschieden wird, und welche Wirkungen es entfaltet – Haupt- sowie Nebenwirkungen.“

Ein wichtiger Punkt sei bei den Studien außerdem die Compliance, die bei Kleinkindern aufgrund der Eltern gut funktioniere, bei Jugendlichen dagegen oft eher schlecht sei. Und: „Die Datenlage, auf die wir bei Kinderpopulationen zurückgreifen können, ist meistens dünner, so dass wir insgesamt auf wesentlich wackeligeren Füßen stehen.“



Elshoff zufolge gibt es seit den 1990er Jahren Bestrebungen, klinische Studien an Kindern zu forcieren. Einen Meilenstein stelle die im vergangenen Jahr seitens der EMA verabschiedete Pediatric Extrapolation Guideline dar. Die ICH Richtlinie E11A liefert einen Rahmen für die Extrapolation der Daten von Erwachsenen auf Kinder unter bestimmten Voraussetzungen. Extrapolationen sowie besondere statistische Verfahren seien innovative Ansätze, um mit den häufig geringen Patientenzahlen in Kinderstudien umzugehen. Der Experte erwähnt außerdem Studiensimulationen, die mithilfe echter

Patientensicherheit von Anfang an – Sichere Versorgung für jedes Neugeborene und jedes Kind

Informationsveranstaltung des vfa anlässlich des Welttags der Patientensicherheit, 15. September 2025

Patienten und Ärzte eine Art Realitätscheck liefern: Kann das wirklich funktionieren? Wo liegen die Problemstellen? Auch werden Patientenkonsile befragt. Auf die mit der Rekrutierung und Logistik verbundenen Probleme reagieren Hersteller

mittlerweile in Form von dezentralen Studienkonzepten: In diesem Fall kommt die Study Nurse zum Studienteilnehmer nach Hause, erklärt der pädiatrische Studienexperte von UCB Biosciences. „So bringen wir die Studien zum Patienten.“

„Von Anfang an“ meint schon vor der Geburt

Über die Besonderheiten von Arzneimittelsicherheit bei Kindern nach der Zulassung informiert **Dr. Ulrike Seewald**, Sanofi-Aventis Deutschland GmbH. Sie hält fest: Schwangere und Stillende werden in der Regel aus ethischen Gründen nicht aktiv in Klinische Studien zu neuen Medikamenten eingeschlossen. Demgegenüber nehmen bis zu 90 Prozent der Schwangeren und Stillenden in dieser vulnerablen Phase Medikamente ein, ebenso Väter vor dem Konzeptionszeitpunkt. Für 71 Prozent der verfügbaren Medikamente existierten keine Informationen über den Gebrauch in Schwangerschaft und Stillzeit. „In Fach- und Gebrauchsinformationen gibt es entweder nur eine Kontraindikation oder eine strenge Nutzen-Risiko-Abwägung bei vitaler Indikation“, betont die Ärztin. Die Datenerhebung erfolge an zufällig oder absichtlich exponierten Schwangeren nach Zulassung – „oft auf Wunsch der Patientinnen selbst, die ihre Grundkrankheit behandelt wissen möchten. Die Risiko-Nutzen Abwägung für den Menschen erfolgt auf Grundlage präklinischer Daten zur Reproduktions- und Entwicklungstoxizität beim Tier, so die Ärztin. Nach der Zulassung sammelten Pharmaunternehmen außerdem vielfältige Informationen zur Sicherheit von Arzneimitteln in der Schwangerschaft, um bessere Angaben für medizinische Fachkräfte und



Patienten bereitstellen zu können, um für den Fötus oder den Embryo schädliche Wirkstoffe zu identifizieren und um Medikamente mit begrenzter embryонаler / fetaler Toxizität zu finden. Seewald geht unter anderem auf die Exposition über die Muttermilch ein: Bei Medikamenten mit langer Halbwertszeit bestehe ein Akkumulationsrisiko im Säugling, wenn die Aufnahme den Stoffwechsel und die Ausscheidungsfähigkeit übersteigt. Das Risiko variiere je nach Dosierungsschema, Behandlungsdauer und Therapiebeginn. „Pharmakokinetische Daten in der Muttermilch helfen, die Expositionshöhe zu bestimmen, pharmakokinetische Daten beim Kind liefern Informationen zum tatsächlichen Risiko“, erläutert die Expertin.



Als Beispiel für ein großes Schwangerschaftsregister nach der Zulassung nennt sie das Projekt „concePTION“ der Innovative Medicine Initiative, unterstützt von der Europäischen Union. Im Rahmen des hybriden Studiendesigns werden Daten der Zulassungsinhaber mit öffentlichen Datenquellen gepoolt. Seewald zufolge werden außerdem Daten aus einer Muttermilchdatenbank an der Universität Uppsala integriert. Das Hauptziel des Projektes bringt sie wie folgt auf den Punkt: In ganz Europa zuverlässige evidenzbasierte Informationen zu liefern - für Schwangere und Stillende, deren Familien und medizinische Fachkräfte.

Patientensicherheit von Anfang an – Sichere Versorgung für jedes Neugeborene und jedes Kind

Informationsveranstaltung des vfa anlässlich des Welttags der Patientensicherheit, 15. September 2025

Fazit: „Moderne Gesundheitsaufklärung ist ein Mannschaftssport.“

Die abschließende Paneldiskussion mit allen Expertinnen und Experten bringt die verschiedenen Ebenen des Themas Patientensicherheit zusammen. Die Bandbreite reicht von Prävention bis hin zur Medikamentenentwicklung mithilfe von KI.

Intensiv wird debattiert über Gesundheitskompetenz, evidenzbasierte Informationen und moderne Gesundheitsaufklärung. Ein Fazit lautet: „Moderne Gesundheitsaufklärung ist ein Mannschaftssport.“



Von links: Lisa Braun (Moderation), Dr. Monika Hermanns (vfa), Prof. Stefan Pfister (Hopp-Kindertumorzentrum), Dr. Ruth Hecker (APS), Jakob Maske (Kinder- und Jugendarzt), Dr. Ulrike Seewald (Sanofi-Aventis), Dr. Matthias Meergans (vfa), Dr. Henriette Högl (Kindernetzwerk) und Dr. Jan-Peer Elshoff (UCB Biosciences)



Impressum

Herausgeber und Redaktion
Presseagentur Gesundheit GmbH
Albrechtstraße 11, 10117 Berlin
www.pa-gesundheit.de
V.i.S.d.P.: Lisa Braun
Fotos: Anna Fiolka

Mit freundlicher Unterstützung von
Verband forschender Pharma-Unternehmen
Charlottenstraße 59, 10117 Berlin
www.vfa.de