

Abstract (Klinische Studien in der Kinderonkologie, Vortrag, Eckstein)

Krebs bei Kindern und Jugendlichen macht zwar insgesamt nur 1 % aller Erkrankungen in der Altersklasse unter 18 Jahren aus, ist aber dennoch die zweithäufigste Todesursache bei Kindern nach dem ersten Lebensjahr. In Deutschland wird jährlich bei ca. 2.100 Kindern und Jugendlichen im Alter von unter 18 Jahren eine Krebserkrankung neu diagnostiziert. Innerhalb der ersten 25 Jahre nach Diagnose wird bei über 1.000 Patienten mindestens eine weitere Krebserkrankung festgestellt. Kinder und Jugendliche mit malignen Erkrankungen werden in Deutschland nach einheitlichen Therapiekonzepten behandelt, die von der Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie (GPOH) entwickelt, zertifiziert und regelmäßig an den aktuellen Stand der Wissenschaft angepasst werden. Um diese hohen Standards stetig weiter zu entwickeln, werden nahezu alle pädiatrischen Krebspatienten in sogenannten Therapie-Optimierungsstudien (TOS) aufgenommen. Wie diese Studien geplant, designed und reguliert werden, ist Gegenstand des Vortrags. Seit 2007 die *pediatric regulation* in Kraft getreten ist, gilt die Devise, Kinder durch klinische Studien vor einer Extrapolation als „kleine Erwachsene“ zu schützen. Die forschende pharmazeutische Industrie ist verpflichtet, bei Arzneimittel-Entwicklungsprogrammen, sogenannte *pediatric investigation plans* (PIPs) vorzulegen. Dieses Prüfprogramm in Kindern soll den verbreiteten *off-label-use* in der Pädiatrie verhindern.