

## Bericht der AG Wachstum und Hypophyse 2022

### 16. JA-PED, Lübeck 2022

Moderatoren: G. Binder, R. Pfäffle

Die Arbeitsgruppe Wachstum und Hypophyse traf sich mit ca. 50 Teilnehmern zum Austausch. Gerhard Binder (Tübingen) beschrieb in seinem Vortrag „Long-acting GH ist da, was nun?“ die aktuelle Situation der retardierten GH-Medikamente. Er stellte detailliert die Ergebnisse der Phase-2 Studien vor und die veränderte Pharmakodynamik aller langwirksamen GHs, die in den nicht-physiologischen, undulierenden IGF-1 Konzentrationen zum Ausdruck kommen.

Er resümierte, dass alle Kinder auf lang wirksames GH umgestellt werden sollten, wenn gesichert sei, dass Wirksamkeit und Sicherheit mit rhGH vergleichbar sind. Dies sei aktuell vor dem Hintergrund fehlender Langzeitdaten aber nicht der Fall. Deshalb sollte, wer heute Kindern lang wirksames GH verschreibt, die Eltern und Patienten sehr genau über diese Unsicherheit aufklären. Sollten die Eltern sich dennoch für lang wirksames GH entscheiden, sei eine gute Dokumentation der Aufklärung, der Chargennummern und die Teilnahme an einer Registerstudie dringend zu empfehlen. Die Messung des Peak-GH am Tag 2 (Sicherheit) erscheine ebenso notwendig wie die Messung am Tag 4 oder 5 (Wirksamkeit), die von den Pharmafirmen empfohlen wird. Zu der neu aufgelegten Registerstudie „Insights GHT“ berichtete in seinem Referat Dirk Schnabel (Berlin). INSIGHTSGHT ist das erste produktübergreifende Register zur Therapie mit Wachstumshormonen. Das Register wird koordiniert durch eine interdisziplinäre Studiengruppe (Unterzeichner) und industrieunabhängig durchgeführt. Alle verfügbaren Präparate (auch z. B. langwirksames GH) können dokumentiert werden. Im Fokus der Fragestellungen stehen Langzeiteffekte hinsichtlich Wirksamkeit, Sicherheit und Lebensqualität, bei jugendlichen Patienten insbesondere auch der Übergang von der Adoleszenz zum Erwachsenen. Weitere Themen können als Substudien ergänzt werden. Die Finanzierung des Registers ist bis Q1 2025 gesichert, eine Verlängerung wird angestrebt. Die Daten sollen alle 6 Monate erhoben und in eine internetbasierte Datenbank eingegeben werden. Es gibt eine angemessene Honorierung für die aktive Teilnahme. Die Studie wird technisch von der GWT-TUD GmbH (Innovationszentrum Real-World Evidence) in Dresden durchgeführt. Im letzten Referat stellte Joachim Wölfle (Erlangen) die Aktualisierung der S1-Leitlinie „Kleinwuchs“ zur Diskussion. Es wurden die Referenzdaten für die Wachstumsgeschwindigkeit präpubertärer Kinder und Adoleszenter an die S2e Leitlinie „Diagnostik des Wachstumshormonmangels im Kindes- und Jugendalter“ (Registernummer 174 – 002) angepasst. In der Diagnostik wird jetzt bei SGA-Kleinwuchs mit phänotypischen Hinweisen auf eine genetische Ursache eine genetische Analytik empfohlen. In den Therapieteil wurden die neuen langwirk-

samen GH eingefügt mit dem Hinweis auf die fehlende klinische Erfahrung, vor allem was die Langzeitwirksamkeit und -sicherheit angeht. Außerdem wird auf die unphysiologischen, wöchentlich fluktuierende IGF-1 Serumkonzentrationen verwiesen. Bei der Therapie mit rekombinantem IGF-1 wird nun auf eine sorgfältige Indikationsstellung hingewiesen, insbesondere auf die Kontraindikation Neoplasie oder erhöhtes Neoplasierisiko. Das C-natriuretische Peptid-Analogon Vosoritid wurde auch in den Therapie-Teil der Leitlinie aufgenommen als erstes Medikament zur Behandlung von der Achondroplasie. Schließlich wird darauf hingewiesen, dass die einzige randomisierte Behandlungsstudie von Kindern mit idiopathischem Kleinwuchs keine Effektivität von Aromatase-Inhibitoren in Bezug auf die Erwachsenenkörperhöhe ergeben hat. Die AG hatte gegen diese Veränderungen keine Einwände.