

**Leitlinienreport zur S2k Leitlinie:  
„Nierenzysten und zystische Nierenerkrankungen bei Kindern“  
(AWMF Register Nr. 166/003)**

**1. Geltungsbereich und Zweck**

**Begründung für die Auswahl des Leitlinienthemas**

Die Betreuung von Feten, Kindern und jungen Erwachsenen mit zystischen Nierenerkrankungen ist eine interdisziplinäre und strukturübergreifende Aufgabe. In einigen Aspekten dieser Versorgung hat es in den letzten Jahren rasche Fortschritte gegeben (z.B. Möglichkeiten der genetischen Testung, Überlebenswahrscheinlichkeit nach neonataler Dialysebehandlung, Vasopressin-Antagonisten zur Behandlung der ADPKD bei Erwachsenen). Zu diesen Themen existieren bis jetzt nur wenige Leitlinien, auch im englischsprachigen Bereich. Durch die große Bandbreite der Erkrankungs-Schweregrade ist die geeignete Zuweisung der Patienten ein wichtiges Ziel zur Verbesserung der Patientenversorgung.

**Zielorientierung der Leitlinie**

Die Leitlinie soll in Anbetracht der raschen medizinischen Fortschritte eine einheitlich hochwertige medizinische Versorgung der Betroffenen ermöglichen. Durch eine frühere Zuweisung von geeigneten Patienten an spezialisierte Zentren soll ein besseres Überleben der schwer Betroffenen ermöglicht werden (z.B. durch Entbindung im geeigneten Perinatalzentrum), sowie eine Überversorgung von nur milde Betroffenen vermieden werden (z.B. durch Verzicht auf Nephrektomie bei Kindern mit multizystischer Nierendysplasie).

**Patientenzielgruppe**

Feten, Kinder und junge Erwachsene, bei denen eine oder mehrere Zysten an den Nieren festgestellt werden, sowie Kinder mit bekanntem Risiko für eine autosomal dominante polyzystische Nierenerkrankung (ADPKD) auf Grund der Erkrankung eines Elternteils.

**Versorgungsbereich**

Der Hauptteil der Empfehlungen ist zur Anwendung in der ambulanten pädiatrischen und pränatalen Versorgung gedacht. Einige Empfehlungen adressieren Aspekte der stationären Versorgung, auch um übliche Wege in der stationären Betreuung für ambulante Behandler aufzuzeigen.

**Anwenderzielgruppe/Adressaten**

Die Leitlinie dient zur Information für Kinder- und Jugendmediziner und richtet sich an pädiatrische Nephrologen, Neonatologen und pädiatrische Intensivmediziner, Perinatalmediziner, Pädiatrische Radiologen und Anwender pädiatrisch-sonographischer Diagnostik, Urologen, Kinderchirurgen, Gynäkologen und Geburtshelfer sowie Humangenetiker.

**2. Zusammensetzung der Leitliniengruppe: Beteiligung von Interessensgruppen**

**Repräsentativität der Leitliniengruppe: Beteiligte Berufsgruppen**

Eine umfassende Beteiligung aller medizinisch relevanten Fachgruppen in Deutschland wurde durch Mandatsträger und engagierte Mitglieder aller relevanten Fachgesellschaften erreicht. Alle Fachgesellschaften waren bei beiden Konsensustreffen durch Mandatsträger vertreten. Diese waren:

<b>Fachgesellschaft</b>	<b>Mandatsträger</b>
Gesellschaft für pädiatrische Nephrologie (GPN)	Prof. Kemper (Hamburg), PD Oh (Hamburg), PD Liebau (Köln)

Deutsche Gesellschaft für Gynäkologie und Geburtshilfe ( <b>DGGG</b> )	Prof. Constantin von Kaisenberg (Hannover)
Deutsche Gesellschaft für Perinatalmedizin ( <b>DGPM</b> )	Prof. Gembruch (Bonn), Prof. Rossi (Berlin)
Gesellschaft für Neonatologie und pädiatrische Intensivmedizin ( <b>GNPI</b> )	Prof. Maier (Marburg)
Deutsche Gesellschaft für Urologie ( <b>DGU</b> ) - Arbeitskreis Kinder und Jugendurologie	Dr. Riechardt (Hamburg)
Deutsche Gesellschaft für Kinderchirurgie ( <b>DGKCH</b> ) - AG Kinderurologie	Prof. Rolle (Frankfurt)
Deutsche Gesellschaft für Ultraschall in der Medizin ( <b>DEGUM</b> ) - Sektion Gynäkologie	Prof. Constantin von Kaisenberg (Hannover)
Deutsche Gesellschaft für Ultraschall in der Medizin ( <b>DEGUM</b> ) - Sektion Pädiatrie	PD Vester (Duisburg), <i>nominiert von der Sektion</i>
Gesellschaft für pädiatrische Radiologie ( <b>GPR</b> )	Dr. Joachim Stegmann (Hamburg)
Deutsche Gesellschaft für Humangenetik ( <b>GfH</b> )	Prof. Bergmann (Freiburg/Mainz)
Gesellschaft für pädiatrische Gastroenterologie und Ernährung ( <b>GPGE</b> )	Dr. Brinkert (Hamburg)

Auf Grund des Themenbereichs hauptsächlich in der pädiatrischen Nephrologie waren folgende Kinderneurologen mit Interessenschwerpunkt im Bereich zystische Nierenerkrankungen zusätzlich beteiligt:

Prof. Schaefer (Heidelberg), Prof. Haffner (Hannover), Prof. Weber (Marburg), Prof. Pape (Hannover), Dr. König (Münster), Dr. Cetiner (Essen), PD Gimpel (Freiburg).

Da nur ein indirektes Interesse der Berufsgruppen Kinderkrankenpflege und Entbindungspflege zu den Leitlinieninhalten besteht waren diese nicht aktiv beteiligt.

#### **Repräsentativität der Leitliniengruppe: Beteiligung von Patienten**

Die Selbsthilfeorganisation „PKD Zystennieren e.V.“ wurde eingeladen Patientenvertreter für die Leitlinienerstellung zu benennen. Herr U. Korst nahm als Vorstand des Vereins an beiden Konsensuskonferenzen teil, machte aktive Vorschläge und war stimmberechtigt. Ein weiteres Mitglied des Vereins mit besonderem Interesse an der ARPKD) war zu den Treffen verhindert, hat aber die schriftlichen Versionen kommentiert.

### **3. Methodologische Exaktheit**

#### **Recherche, Auswahl und Bewertung wissenschaftlicher Belege (Evidenzbasierung)**

Obwohl formal nicht nötig für eine S2k Leitlinie, wurden systematische Literaturrecherchen zu folgenden Themen erstellt und den Teilnehmern im Vorfeld sowohl in tabellarischer Form als auch PDFs der einzelnen Publikationen online zur Verfügung gestellt:

##### ADPKD

- Manifestationen bei Kindern
- Radiologische diagnostische Kriterien bei Kindern und jungen Erwachsenen
- Radiologische Progressionsmarker der ADPKD
- Therapie mit Vasopressin-Inhibitoren

##### ARPKD

- Prognose der ARPKD
- Radiologische Befunde der ARPKD und Korrelation mit Nierenfunktion

##### HNF1B-Erkrankungen

- Inzidenz verschiedener radiologischer Auffälligkeiten

Multizystisch-Dysplastische Nieren

- Inzidenz von Komplikationen (Hypertonie und Entartung)

Komplexe Nierenzysten bei Kindern

- Vergleich von CEUS mit anderen bildgebenden Verfahren
- Bosniack Klassifikation bei Kindern

Tuberöse Sklerose

- Häufigkeit von Zysten, Angiomyolipomen und Komplikationen von Zysten
- Ansprechen von Zysten auf mTOR Inhibitor Therapie

Erworbene Zysten bei Kindern

- Inzidenz in verschiedenen Kollektiven

Pränatale Magnetresonanztomographie bei fetalen zystischen Nierenerkrankungen

- Vergleich mit sonographischen Befunden

Prädiktoren für neonatales Überleben bei Feten mit zystischen Nierenerkrankungen

- Pränatale Lungenvolumenmessungen
- Chemische Marker aus Nabelschnurblut und Amnionflüssigkeit

Amnioninfusion

- Outcome bei renalem Oligohydramnion
- Übersichtsarbeiten bei vorzeitigem Blasensprung

Nierenersatztherapie in den ersten 24 Lebensmonaten

- Überleben
- Wachstum
- neurologisches Outcome

Die Literaturzusammenstellungen enthielten auch relevante, bereits existierende Leitlinien/ Konsensdokumente zu den Themen ADPKD, ARPKD, tuberöse Sklerose und Hypertonie im Kindesalter. Die Literaturrecherchen fanden zwischen 2017 und 2018 statt. Es wurden in MEDLINE gelistete englische und deutsche Veröffentlichungen berücksichtigt. Evidenztabellen mit semi-strukturierter Bewertung einzelner Studien wurden in Anlehnung an die GRADE-Kriterien erstellt.

Auf eine formelle Graduierung der Evidenz für jede Empfehlung (S3 Standard) wurde nach Diskussion auf dem 1. Konsensustreffen auf Grund der recht dünnen Evidenzlage für viele Empfehlungen verzichtet. Die sehr exakte Evidenzbasierung von wenigen spezialisierten Fragen wurde zu Gunsten von allgemeinen Empfehlungen in mehr Bereichen verlassen, da so der Nutzen für die anvisierte Zielgruppe höher erschien.

**Formulierung der Empfehlungen und strukturierte Konsensfindung**○ **Formale Konsensfindung: Verfahren und Durchführung**

Die Konsensfindung erfolgte auf 2 Konsensustreffen (Januar und Mai 2019), bei denen eine strukturierte Konsensfindung unter Moderation einer neutralen AWMF Mitarbeiterin stattfand. Im Vorfeld war ein Textvorschlag erarbeitet worden, den alle Mitglieder vorab kommentieren konnten. Auf dem Konsensustreffen wurde dieser zunächst in Arbeitsgruppen überarbeitet und dann im Plenum vorgestellt. Nach inhaltlichen Rückfragen wurde dann jede Empfehlung einzeln abgestimmt inklusive der Änderungsvorschläge aus dem Plenum. Bei Dissens erfolgte weitere Diskussion und erneute Abstimmung bis zum Erreichen eines Konsenses.

Nach Diskussion auf dem ersten Treffen wurde gemeinsam entschieden, dass jeder Teilnehmer (inklusive des Patientenvertreters und unabhängig ob Mandatsträger oder nicht bei den Abstimmungen eine Stimme hat.

Die Abstimmungsergebnisse sind unter jeder Empfehlung angegeben. Dabei war die Konsensstärke wie folgt festgelegt: > 95% starker Konsens, > 75% Konsens.

Enthaltungen sind mit angegeben, wurden jedoch nicht zur Grundgesamtheit hinzugezählt (Bsp.: 20/1/1 (22) 95% bedeutet Anzahl der Stimmen für ja/ nein/ Enthaltung).

Der begleitende Hintergrundtext der Leitlinie wurde allen Teilnehmern online zur Verfügung gestellt, so dass über diesen Weg weitere Diskussion und Einbindung von Kommentaren möglich war. Dies wurde durch Fr. Dr. Gimpel moderiert. Nach dem Konsensustreffen geäußerte Änderungswünsche an den Empfehlungen selber wurden nochmals online anonym abgestimmt (1 Änderung).

- **Berücksichtigung von Nutzen, Nebenwirkungen-relevanten Outcomes**

Der Großteil der Empfehlungen der Leitlinie bezieht sich nicht auf therapeutische Maßnahmen, sondern auf diagnostisches Vorgehen. Hierbei war der zu erwartende Nutzen maßgeblich für die Wahl der Empfehlungsstärke (d.h. diagnostische Verfahren mit einer hohen Chance therapeutisch relevanter Konsequenzen wurden stärker empfohlen als solche mit entweder einer niedrigen Chance pathologischer Ergebnisse oder einer niedrigen Chance therapeutisch relevanter Ergebnisse). Bei den Empfehlungen zu medikamentöser Therapie (z.B. Tolvaptan), wurde die aktuelle Studienlage zu Nebenwirkungen bei Erwachsenen und Kindern berücksichtigt.
- **Formulierung der Empfehlungen und Vergabe von Evidenzgraden und/ oder Empfehlungsgraden**

Die Empfehlungen wurden entsprechend des AWMF Regelwerk sprachlich graduiert und auf Evidenzgrade verzichtet: Dabei wurde eine starke Empfehlung mit „soll/soll nicht“, eine Empfehlung mit „sollte/sollte nicht“ und eine offene mit „kann/kann verzichtet werden“ ausgedrückt. „Muss“ wurde für rechtlich bindende Vorgaben (z.B. zur humangenetischen Beratung) verwendet.

#### 4. Externe Begutachtung und Verabschiedung

- **Pilottestung**

Eine Pilottestung ist nicht vorgesehen, und auf Grund der vielen diagnostisch orientierten Empfehlungen auch schwierig.
- **Externe Begutachtung**

Eine externe Begutachtung erfolgte durch den Peer Review der Fachzeitschrift „klinische Pädiatrie“. Vorarbeiten zu dieser Leitlinie in Form von internationalen Empfehlungen und Konsensuspapieren zu engeren Themenfeldern [1–3] wurden in hochrangigen Fachzeitschriften mit Peer-Review publiziert und von europäischen und internationalen Fachgesellschaften geprüft und befürwortet.
- **Verabschiedung durch die herausgebenden Fachgesellschaften**

Die Leitlinie wurde je nach Geschäftsordnung der einzelnen Fachgesellschaften von den Vorständen bzw. den Leitlinienbeauftragten begutachtet, kommentiert und verabschiedet.

#### 5. Redaktionelle Unabhängigkeit

- **Finanzierung der Leitlinie**

Die Arbeit der Koordinatorin (Frau PD Dr. C. Gimpel) wurde über den unabhängigen Forschungsverbund NEOCYST getragen, welcher sich der Erforschung früh-manifester zystischer Nierenerkrankungen widmet. Er wird vom Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) unter dem Förderkennzeichen 01GM1515D gefördert.  
Die Kosten für die Moderation durch die AWMF wurden durch die Gesellschaft für pädiatrische Nephrologie getragen. Die Reisekosten der Mandatsträger übernehmen die entsendenden Fachgesellschaften. Die Reisekosten der übrigen Mitglieder

wurden über NEOCYST getragen. Die Räumlichkeiten und -Verpflegung für die Treffen wurden über Prof. Rolle vom Uniklinikum Frankfurt gestellt.

- **Darlegung von Interessen und Umgang mit Interessenkonflikten**  
Jeder Teilnehmer der Leitlinie erklärte schriftlich seine Interessen mit dem AWMF Formblatt. Die Angaben zu den Interessen wurden auf thematischen Zusammenhang zur Leitlinie und auf Ihre Relevanz zu Beginn des ersten Treffens diskutiert und bewertet. Als geringer Interessenkonflikt wurde Vortragstätigkeit, als moderater Interessenkonflikt (mit der Konsequenz einer Stimmenthaltung) wurde Berater/Gutachtertätigkeit, Ad-Board Tätigkeit, Industriedrittmittel in verantwortlicher Position oder Eigentümerinteresse bewertet. Die Interessenkonflikte und das Management sind in der zusammenfassenden Tabelle zur Erklärung von Interessen aufgeführt.
- Im Falle einer Stimmenthaltung aufgrund moderater Interessenkonflikt wurde eine Doppelabstimmung (Teilnehmer ohne Interessenkonflikt/ alle Teilnehmer) durchgeführt, welche aber in keinem Fall zu einer relevanten Änderung führte, so dass auf die Darstellung der Ergebnisse der Doppelabstimmungen verzichtet wurde und nur die Ergebnisse der Abstimmung der Teilnehmer ohne Interessenkonflikte dargestellt sind.

## 6. Verbreitung und Implementierung

- **Konzept zur Verbreitung und Implementierung**  
Eine Veröffentlichung erfolgt über in der Fachzeitschrift „Klinische Pädiatrie“ und über die AWMF Webseite. Eine Veröffentlichung über die Webseiten der Fachgesellschaften wird ebenfalls angestrebt.
- **Unterstützende Materialien für die Anwendung der Leitlinie**  
Die tabellarischen Ergebnisse der systematischen Literaturrecherchen können gerne auf Anfrage von Frau Dr. Gimpel ([Charlotte.Gimpel@uniklinik-freiburg.de](mailto:Charlotte.Gimpel@uniklinik-freiburg.de)) bezogen werden.
- **Diskussion möglicher organisatorischer und/oder finanzieller Barrieren gegenüber der Anwendung der Leitlinienempfehlungen**  
Ein Hindernis für die qualitativ hochwertige Betreuung von Patienten mit zystischen Nierenerkrankungen, gerade in der Perinatalphase, ist die Disziplinen-übergreifende Betreuung, welche eine gute Vernetzung erfordert. Durch den Einbezug möglichst aller relevanten Fachrichtungen soll die Annahme und Umsetzung dieser Leitlinie ermöglicht werden, bedarf daher aber auch der Verbreitung über mehrere Fachgesellschaften.
- **Messgrößen für das Monitoring: Qualitätsziele, Qualitätsindikatoren**  
Ein explizites Monitoring der Umsetzung der Leitlinie ist nicht vorhergesehen, da Qualitätsindikatoren für die diagnostischen Entscheidungen sehr schwierig zu implementieren sind.

## 7. Gültigkeitsdauer und Aktualisierungsverfahren

- **Datum der letzten inhaltlichen Überarbeitung und Status**  
Die letzte inhaltliche Bearbeitung erfolgte im März 2020. Die Gültigkeit nach dem AWMF Regelwerk gilt daher bis Februar 2025.
- **Aktualisierungsverfahren**  
Es existieren noch keine konkreten Pläne zur Aktualisierung der Leitlinie. Ansprechpartner hierfür sind von Seiten der GPN PD Dr. Max Liebau [max.liebau@uk-koeln.de](mailto:max.liebau@uk-koeln.de) und Prof. M. Kemper [m.kemper@asklepios.com](mailto:m.kemper@asklepios.com), sowie Franz Schaefer [Franz.Schaefer@med.uni-heidelberg.de](mailto:Franz.Schaefer@med.uni-heidelberg.de) und

Charlotte Gimpel Charlotte.Gimpel@uniklinik-freiburg.de

## 8. Referenzen

1. Gimpel C, Avni FE, Bergmann C, Cetiner M, Habbig S, Haffner D, König J, Konrad M, Liebau MC, Pape L, Rellensmann G, Titieni A, von Kaisenberg C, Weber S, Winyard PJD, Schaefer F (2018) Perinatal Diagnosis, Management, and Follow-up of Cystic Renal Diseases: A Clinical Practice Recommendation With Systematic Literature Reviews. *JAMA Pediatr* 172:74–86. <https://doi.org/10.1001/jamapediatrics.2017.3938>
2. Gimpel C, Avni EF, Breyssem L, Burgmaier K, Caroli A, Cetiner M, Haffner D, Hartung EA, Franke D, König J, Liebau MC, Mekahli D, Ong ACM, Pape L, Titieni A, Torra R, Winyard PJD, Schaefer F (2019) Imaging of Kidney Cysts and Cystic Kidney Diseases in Children: An International Working Group Consensus Statement. *Radiology* 290:769–782. <https://doi.org/10.1148/radiol.2018181243>
3. Gimpel C, Bergmann C, Bockenbauer D, Breyssem L, Cadnapaphornchai MA, Cetiner M, Dudley J, Emma F, Konrad M, Harris T, Harris PC, König J, Liebau MC, Marlais M, Mekahli D, Metcalfe AM, Oh J, Perrone RD, Sinha MD, Titieni A, Torra R, Weber S, Winyard PJD, Schaefer F (2019) International consensus statement on the diagnosis and management of autosomal dominant polycystic kidney disease in children and young people. *Nat Rev Nephrol* 15:713–726. <https://doi.org/10.1038/s41581-019-0155-2>

**Versions-Nummer: 1.0**

**Erstveröffentlichung: 03/2020**

**Nächste Überprüfung geplant: 02/2025**

Die AWMF erfasst und publiziert die Leitlinien der Fachgesellschaften mit größtmöglicher Sorgfalt - dennoch kann die AWMF für die Richtigkeit des Inhalts keine Verantwortung übernehmen. **Insbesondere bei Dosierungsangaben sind stets die Angaben der Hersteller zu beachten!**

**Autorisiert für elektronische Publikation: AWMF online**