

Παιδιατρική: Προκλήσεις πρώιμης ανάπτυξης

Εισαγωγή

Η ανάπτυξη φαρμάκων για παιδιά αποτελεί τόσο επιστημονική όσο και κανονιστική πρόκληση. Οι ερευνητές πρέπει να προσδιορίσουν τον κατάλληλο χρόνο για την παρουσίαση ενός νέου υποψήφιου φαρμάκου για παιδιά, μια απόφαση που απαιτεί προσεκτική συζήτηση και προγραμματισμό.

Πότε πρέπει να αρχίσει η ανάπτυξη παιδιατρικών φαρμάκων;

Προτού ένα νέο φάρμακο μελετηθεί στον άνθρωπο, έχει ήδη υποβληθεί σε σημαντικό αριθμό ερευνών, μεταξύ άλλων και σε ζώα. Οι πρώτες μελέτες σε ανθρώπους επικεντρώνονται στην ασφάλεια του φαρμάκου σε ενήλικες και, στη συνέχεια, προχωρούν στο να προσδιορίσουν κατά πόσο το φάρμακο λειτουργεί («απόδειξη των εικαζόμενων χαρακτηριστικών») πριν από την έναρξη μεγαλύτερων δοκιμών επιβεβαίωσης, σχεδιασμένων να παρέχουν πληροφορίες τόσο για την ασφάλεια όσο και για την αποτελεσματικότητα. Κάποια στιγμή κατά τη διάρκεια των κλινικών μελετών θα πρέπει να συζητηθεί και, ενδεχομένως, να αρχίσει η ανάπτυξη του φαρμάκου για παιδιά.

Το πότε θα πραγματοποιηθεί πραγματικά η συζήτηση εξαρτάται από το εκάστοτε πρόγραμμα. Ωστόσο, θα πρέπει πάντα να πραγματοποιείται σε πρώιμο στάδιο των συζητήσεων για την ανάπτυξη, ώστε να υπάρχει αρκετός χρόνος για διάφορες δραστηριότητες, συμπεριλαμβανομένης της ανάπτυξης νέων σκευασμάτων και κατάλληλων μη κλινικών και κλινικών δοκιμών. Η κατάλληλη στιγμή για να ξεκινήσει η ανάπτυξη φαρμάκων για παιδιά εξαρτάται συχνά από την ασθένεια και την ανεκπλήρωτη

ανάγκη, καθώς και από το αν το φάρμακο είναι καινοτόμο (νέο) ή αν ανήκει σε μια ομάδα φαρμάκων, ο μηχανισμός των οποίων είναι ήδη καλά κατανοητός. Εξαρτάται επίσης από τις απαιτήσεις των ρυθμιστικών αρχών. Για παράδειγμα, στην ΕΕ συνήθως ξεκινά νωρίτερα από ό,τι στις ΗΠΑ. Οι συμφωνίες μεταξύ της ΕΕ και των ΗΠΑ μπορεί επίσης να διαφέρουν.

Νομοθεσία για την ανάπτυξη παιδιατρικών φαρμάκων

Στην ΕΕ, η ανάπτυξη παιδιατρικών φαρμάκων και η χορήγηση αδειών κυκλοφορίας όσον αφορά φάρμακα για παιδιατρική χρήση διέπονται από μια ενιαία νομοθεσία.¹ Η νομοθεσία αυτή προϋποθέτει τα παιδιά να συμπεριλαμβάνονται νωρίτερα στην ανάπτυξη φαρμάκων: επιβάλλει την υποβολή ενός προγράμματος παιδιατρικής έρευνας αφού ολοκληρωθούν οι πρώτες μελέτες σε ανθρώπους, όταν η κατανόηση της επίδρασης του φαρμάκου αρχίζει μόλις να διαμορφώνεται. Η νομοθεσία παρέχει επίσης κίνητρα για όσους συμμορφώνονται με την εντολή αυτή και υποβάλλουν εγκαίρως τα προγράμματα παιδιατρικής έρευνας.

Ιδανικά, και ιδίως όταν υπάρχει η δυνατότητα χρήσης ενός φαρμάκου τόσο σε ενήλικες όσο και σε παιδιατρικούς πληθυσμούς, ο ανάδοχος θα επιδιώξει να πραγματοποιήσει την ανάπτυξη του παιδιατρικού φαρμάκου σχεδόν παράλληλα με την έναρξη των κλινικών μελετών του φαρμάκου σε ενήλικες ανθρώπους. Αυτό θα είχε ως αποτέλεσμα το φάρμακο να γίνει διαθέσιμο για παιδιά ταυτόχρονα ή λίγο αργότερα αφού γίνει διαθέσιμο για ενήλικες. Παρόλο που η συζήτηση λαμβάνει χώρα παράλληλα, μπορεί να οδηγήσει σε κλιμακωτά προγράμματα ανάπτυξης για ενήλικες και παιδιά.

Παραπομπές :

1. Ευρωπαϊκό Κοινοβούλιο (2006). *Κανονισμός (ΕΚ) αριθ. 1901/2006 του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου και του Συμβουλίου, της 12ης Δεκεμβρίου 2006, για τα παιδιατρικά*

φάρμακα. Ανακτήθηκε στις 11 Ιουλίου, 2021, από τη διεύθυνση:

<https://op.europa.eu/en/publication-detail/-/publication/f02fd0de-82a9-42d8-9cd1-723176bb5ce0>

2. Ευρωπαϊκό Κοινοβούλιο (2006).Κανονισμός (ΕΚ) αριθ. 1902/2006 του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου και του Συμβουλίου, της 20ης Δεκεμβρίου 2006, για την τροποποίηση του κανονισμού (ΕΚ) αριθ. 1901/2006 σχετικά με τα φάρμακα που χρησιμοποιούνται στην παιδιατρική. Ανακτήθηκε στις 11 Ιουλίου, 2021, από τη διεύθυνση: <https://op.europa.eu/en/publication-detail/-/publication/962e5f1e-9acf-4862-8b1b-1d5b01c8265e>

A2-1.18.3-v1.3