

Desarrollo de fármacos para niños: visión general

Introducción

En los años sesenta, la eficacia de los fármacos se probaba en el caso de los adultos, pero no en el de los niños. La única alternativa de los profesionales sanitarios era el uso extraoficial en niños de los fármacos autorizados para adultos, con los riesgos asociados de ineficacia o reacciones adversas.

Las compañías farmacéuticas no realizaban los procedimientos de investigación y desarrollo sistemáticos necesarios para adaptar los fármacos a la población pediátrica.

En la actualidad, en la Unión Europea más de la mitad de los fármacos para tratar a los niños se usan «extraoficialmente». Es decir, no se han estudiado para esta población y no siempre se usan para tratar las mismas enfermedades en niños y adultos.

Solución de deficiencias en el ámbito de la pediatría

En respuesta a la ausencia de fármacos autorizados suficientemente adecuados para el tratamiento de enfermedades infantiles, se han redactado una serie de directrices en la Unión Europea y Estados Unidos para:

- promover y facilitar el desarrollo oportuno de fármacos pediátricos;
- garantizar que los fármacos usados cumplen las normas éticas para la investigación y el desarrollo;

- garantizar que los fármacos se han autorizado debidamente para su uso en la población pediátrica;
- mejorar la información disponible sobre el uso de fármacos en niños;
- contribuir a reducir el «uso extraoficial».

El promotor debe tener en cuenta una serie de aspectos al inicio del desarrollo para evaluar la idoneidad del desarrollo de un fármaco para la población pediátrica. El momento adecuado para incluir el desarrollo de fármacos para niños suele depender de la enfermedad y de las necesidades no cubiertas. Además, esto depende de si se trata de un fármaco «novedoso» (nuevo) o de si forma parte de un grupo de fármacos, en cuyo caso el mecanismo ya es bien conocido.

Dado que los niños son un subgrupo vulnerable, el desarrollo de fármacos para niños requiere medidas especiales para proteger a esta población de un riesgo excesivo. La optimización del diseño de los ensayos clínicos y las cuestiones éticas que se plantean en los estudios pediátricos son solo algunos de los elementos necesarios. Las formulaciones específicas según la edad son fundamentales para resolver problemas como la dificultad para tragar en caso de no haber disponible una formulación en jarabe. Asimismo, es posible que sea necesario usar otros sabores, colores y enmascaradores del sabor.

De acuerdo con la legislación vigente en la Unión Europea y Estados Unidos, el desarrollo de fármacos ya no es posible sin tener en cuenta a los niños, con lo cual el desarrollo de fármacos pediátricos es equiparable en mayor medida al desarrollo de fármacos para adultos. Este cambio ha tenido como resultado el aumento del desarrollo de fármacos pediátricos y el hecho de que se hayan empezado a desarrollar más fármacos para niños.