

Desenvolvimento de medicamentos para crianças: Visão geral

Introdução

Na década de 1960, a eficácia dos medicamentos era testada em adultos, mas não em crianças. Os profissionais de saúde não tinham alternativa senão utilizar “off-label” (sem estar na indicação) em crianças os medicamentos autorizados para adultos, com os riscos associados de ineficácia ou de reações adversas.

As empresas farmacêuticas não realizavam a investigação e desenvolvimento necessária para adaptar os medicamentos às necessidades da população pediátrica.

Atualmente, na União Europeia mais de metade dos medicamentos utilizados no tratamento de crianças são utilizados “off-label” (fora da indicação), ou seja, nunca foram estudados nesta população e não são sempre utilizados para tratar as mesmas doenças em crianças, tal como são utilizados para tratar os adultos.

Abordar as lacunas na medicina pediátrica

Como resposta à ausência de medicamentos autorizados, suficientemente adequados para o tratamento de doenças em crianças, foram elaboradas normas orientadoras nos EUA e na UE para:

- Incentivar e facilitar o desenvolvimento atempado de medicamentos pediátricos

- Garantir que os medicamentos utilizados são sujeitos a investigação e desenvolvimento apropriado e de forma ética
- Garantir que os medicamentos são adequadamente autorizados para uso pediátrico
- Melhorar a informação disponível sobre a utilização de medicamentos em crianças
- Ajudar a diminuir a administração “off-label”

O promotor deve considerar várias questões no início do desenvolvimento para avaliar a adequação do desenvolvimento do medicamento na população pediátrica. O momento certo para incluir o desenvolvimento de medicamentos para crianças depende muitas vezes da doença e das necessidades terapêuticas não existentes. Também irá depender se o medicamento é “inovador” (novo) ou se faz parte de um grupo de medicamentos, para o qual o mecanismo é já bem compreendido.

Uma vez que as crianças são um subgrupo vulnerável, desenvolver medicamentos para crianças requer medidas especiais de modo a protegê-las de riscos indevidos. A otimização do desenho de um ensaio clínico e as questões éticas em estudos pediátricos são apenas parte do que é necessário. A utilização de formulações específicas para a idade é essencial para resolver problemas tais como dificuldade de engolir comprimidos caso não esteja disponível um xarope. Adicionalmente, podem ser necessários sabores alternativos, corantes e aromatizantes.

Como resultado da legislação da UE e dos EUA, o desenvolvimento de medicamentos já não é possível sem ter as crianças em consideração, alinhando mais o desenvolvimento de medicamentos pediátrico com o desenvolvimento de medicamentos para adultos. Esta alteração resultou num aumento do desenvolvimento pediátrico e estão a começar a ser desenvolvidos mais medicamentos para as crianças.