

# **Farmaci pediatrici: i problemi dello sviluppo iniziale**

## **Introduzione**

Lo sviluppo di farmaci per i bambini pone problemi sia di carattere scientifico che normativo. I ricercatori devono individuare il momento adatto per introdurre un nuovo farmaco candidato per i bambini, una decisione che richiede una discussione e una pianificazione accurate.

## **Quando dovrebbe iniziare lo sviluppo pediatrico?**

Prima di essere studiato sull'uomo, un nuovo farmaco è già stato sottoposto a una notevole mole di ricerche, condotte anche sugli animali. Gli studi iniziali sull'uomo si concentrano sulla sicurezza del farmaco negli adulti e passano poi a determinare se il farmaco è efficace ("prova di concetto"). In seguito si passa a studi di conferma più ampi, disegnati per fornire dati sia sulla sicurezza che sull'efficacia. In una certa fase degli studi clinici si dovrebbe esaminare e, potenzialmente, avviare lo sviluppo pediatrico del farmaco.

Il momento preciso di tale discussione dipende dal singolo progetto; tuttavia dovrebbe essere sempre nella fase iniziale delle discussioni sullo sviluppo, in modo da poter dedicare un tempo sufficiente a diverse attività, compreso lo sviluppo di nuove formulazioni e gli studi non clinici e clinici più appropriati. Spesso il momento più adatto per includere lo sviluppo dei farmaci per i bambini dipende dalla malattia e

dalla presenza di esigenze non soddisfatte, e anche dal fatto che il farmaco sia nuovo o appartenga a un gruppo di farmaci con un meccanismo già ben noto. La scelta del momento dipende anche dai requisiti richiesti dagli enti normativi, per esempio, generalmente è più iniziale nell'Unione Europea che negli Stati Uniti. Anche gli accordi tra l'Unione Europea e gli Stati Uniti possono essere diversi.

## **Legislazione sullo sviluppo dei farmaci pediatrici**

Nell'Unione Europea un'unica legislazione regola lo sviluppo dei farmaci pediatrici e l'autorizzazione ai farmaci per uso pediatrico.<sup>1</sup> Questa legislazione impone di includere i bambini nella fase iniziale dello sviluppo dei farmaci: richiede di presentare un piano di indagine pediatrica (Paediatric Investigation Plan, PIP) una volta completati gli studi sull'uomo, quando la comprensione dell'effetto del farmaco sta appena emergendo. La legislazione fornisce anche incentivi a chi si uniforma a questa normativa e invia i propri PIP in tempo.

In teoria, e soprattutto quando un farmaco può essere impiegato sia nella popolazione adulta che in quella pediatrica, lo sponsor deve cercare di avviare uno sviluppo pediatrico parallelo del farmaco, dal momento in cui questo inizia gli studi clinici sugli adulti. Ciò significa che il farmaco per i bambini dovrebbe essere disponibile contemporaneamente o poco dopo al farmaco per gli adulti. Sebbene la discussione proceda in parallelo, l'esito può tradursi in piani di sviluppo per adulti e pediatrici sfalsati.

## **Riferimenti bibliografici**

1. European Parliament (2006). *Regulation (EC) No 1901/2006 of the European Parliament and of the Council of 12*

*December 2006 on medicinal products for paediatric use.*  
Retrieved 11 July, 2021, from  
<https://op.europa.eu/en/publication-detail/-/publication/f02fd0de-82a9-42d8-9cd1-723176bb5ce0>

2. European Parliament (2006). *Regulation (EC) No 1902/2006 of the European Parliament and of the Council of 20 December 2006 amending Regulation 1901/2006 on medicinal products for paediatric use.* Retrieved 11 July, 2021, from  
<https://op.europa.eu/en/publication-detail/-/publication/962e5f1e-9acf-4862-8b1b-1d5b01c8265e>

A2-1.18.3-v1.3