

# Fármacos pediátricos: consideraciones especiales

## Introducción

Se requieren una serie de medidas y consideraciones especiales a la hora de desarrollar fármacos pediátricos con el fin de proteger a los niños de cualquier efecto perjudicial excesivo durante el proceso de desarrollo de fármacos. En el siguiente artículo se describen algunas de estas consideraciones especiales, sobre todo por lo que respecta a la formulación de los fármacos para niños y la optimización del diseño de los ensayos clínicos. Las implicaciones éticas de los estudios pediátricos también se analizan a continuación.

## Preguntas que tener en cuenta

El promotor debe tener en cuenta una serie de preguntas al inicio del desarrollo para poder evaluar la idoneidad del desarrollo de un fármaco para la población pediátrica.

- ¿Existe alguna enfermedad grave o potencialmente mortal para la que el producto represente un posible avance importante en su tratamiento?
- ¿Es el desarrollo de fármacos pediátricos relevante? Es decir, ¿se pueden aplicar las indicaciones previstas (enfermedades cuyo tratamiento es el objetivo del fármaco de interés médico) en el caso de los niños?
- ¿En qué medida es probable el uso en los distintos intervalos de edad de los pacientes (subconjuntos pediátricos según la definición de la Conferencia Internacional sobre Armonización [CIA]) y con qué frecuencia o de qué forma se manifiesta la enfermedad en los niños?

- ¿Cuál es la gravedad de la enfermedad?
- ¿Hay alguna necesidad médica no cubierta en el caso de los niños? ¿Cuál es el beneficio terapéutico significativo? (Teniendo en cuenta la disponibilidad y la idoneidad de tratamientos alternativos).
- ¿Existen indicaciones pediátricas únicas para el fármaco?
- ¿Se trata de un fármaco novedoso (nuevo) o de un fármaco con un componente conocido (un principio activo usado previamente como tratamiento para adultos)?
- ¿Podría el principio activo tener potencial terapéutico en otras áreas de tratamiento?
- ¿Hay dudas específicas por lo que respecta a la seguridad? ¿Cuál es el perfil de seguridad conocido del fármaco (incluidos los datos no clínicos)?
- ¿Puede existir la necesidad de desarrollar una formulación pediátrica específica según la edad? ¿Sería posible este desarrollo (teniendo en cuenta la disponibilidad de los componentes adecuados)?
- ¿Es posible realizar ensayos clínicos con una población pediátrica?

## **Formulación de medicamentos para niños**

Los ensayos clínicos son solo una parte de lo conjunto necesario. Las formulaciones específicas según la edad también son fundamentales para resolver:

- la dificultad para tragar en caso de no haber disponible una formulación en jarabe;
- errores de cálculo graves en caso de usar formulaciones para adultos para obtener la dosis pediátrica;
- el uso o la cantidad de excipientes (componentes inactivos) que serían inapropiados en niños.

Además, se deben tener en cuenta sistemas de administración

alternativos:

- Sabores y colores.
- Líquidos, suspensiones y comprimidos masticables.
- Puede ser necesario enmascarar el sabor.
- Pueden variar para cada grupo de edad.
- Un tamaño único no es válido en todos los casos.

## **Iniciativa Europea de Formulación Pediátrica (EuPFI)**

La Iniciativa Europea de Formulación Pediátrica (EuPFI)<sup>1</sup> fue fundada en el año 2007 por un grupo que representa a los sectores farmacéutico, hospitalario y académico, y el objetivo de todas estas partes interesadas es la investigación de fármacos pediátricos para desarrollar mejores medicamentos para los niños.

El objetivo principal de EuPFI es resolver problemas científicos, reglamentarios y tecnológicos asociados al desarrollo de formulaciones pediátricas mediante:

- la identificación de retos asociados al desarrollo de formulaciones pediátricas;
- la concienciación y la mejora de los fármacos y sus formulaciones para niños;
- la identificación de posibles deficiencias en los conocimientos relativos al desarrollo de formulaciones pediátricas;
- el fomento de un análisis farmacéutico más temprano para el desarrollo de fármacos pediátricos;
- el aumento de la disponibilidad de información sobre las formulaciones pediátricas.

## **Optimización del diseño de los**

# ensayos clínicos pediátricos

En marzo de 2012, el Comité Asesor de Ciencias Farmacéuticas y Farmacología Clínica de la FDA (Administración de Medicamentos y Alimentos de EE. UU.) se reunió para analizar cómo mejorar el diseño de los ensayos clínicos y la determinación de la dosis. Este comité recomendó el uso del modelado y la simulación para predecir qué ocurrirá en un ensayo clínico pediátrico si se administra una dosis concreta de un fármaco.

Además, en esta reunión la mayoría de los integrantes del comité (12 de 13 médicos) estuvieron de acuerdo en que las dosis para la población adolescente (>12 años) se pueden derivar de los datos de la población adulta sin necesidad de realizar un estudio farmacocinético especial. No obstante, algunos miembros del comité recomendaron considerar este enfoque según cada fármaco. Hay más información disponible al respecto en el sitio web de la FDA<sup>2</sup>.

## Aspectos éticos de los estudios pediátricos

Los niños son un subgrupo vulnerable y se requieren medidas especiales para proteger a esta población de un riesgo excesivo. La colaboración con comités de ética familiarizados con poblaciones pediátricas es importante para garantizar que:

- la selección no implique incentivos inapropiados;
- el consentimiento se facilite mediante un documento de consentimiento informado firmado por los padres o un tutor (es posible que los niños mayores también deban firmar un documento de consentimiento informado o declarar su conformidad);
- los participantes están debidamente informados mediante un lenguaje que puedan comprender;
- se minimiza el riesgo derivado de los estudios;

- se minimizan los inconvenientes derivados de los estudios (el personal del estudio debe saber cómo tratar a los niños);
- el protocolo del estudio se ha diseñado especialmente para la población.

## Recursos

- Rose, K., & Van den Anker, J. (Eds.). (2007). *Guide to paediatric clinical research*. Basel: Karger.
- Rose, K., & Van den Anker, J. (Eds.). (2010). *Guide to paediatric drug development and clinical research*. Basel: Karger.

## Referencias

1. More information on EuPFI is available from their website: <http://www.eupfi.org/> (Retrieved 24 August, 2015).
2. Food and Drug Administration (2012). *Summary minutes of the advisory committee for pharmaceutical science and clinical pharmacology March 14, 2012*. Retrieved 11 July, 2021 from <https://web.archive.org/web/20161023224355/http://www.fda.gov/downloads/AdvisoryCommittees/CommitteesMeetingMaterials/Drugs/AdvisoryCommitteeForPharmaceuticalScienceandClinicalPharmacology/UCM306989.pdf>