

# **Fármacos pediátricos: normativa y otros factores influyentes**

## **Normativa para el desarrollo de fármacos pediátricos**

En la Unión Europea (UE), una sola ley rige el desarrollo de fármacos pediátricos y la autorización de fármacos para uso pediátrico. Los reglamentos (CE) n.º 1901/2006<sup>1</sup> y (CE) n.º 1902/2006<sup>2</sup> de la UE requieren la inclusión de los niños en etapas iniciales del proceso de desarrollo de fármacos. Estos reglamentos establecen la presentación de un Plan de Investigación Pediátrica (PIP) una vez que se completan los primeros estudios con seres humanos y se empiezan a conocer los efectos del fármaco. La legislación ofrece además incentivos a quienes cumplan este requisito y presenten los PIP a tiempo.

En Estados Unidos hay dos leyes que rigen el desarrollo de fármacos pediátricos. La primera, que es la Ley de Equidad de Investigación Pediátrica (PREA) (2003), establece la necesidad de planes pediátricos en la mayoría de los casos y requiere un acuerdo para la evaluación pediátrica. Incluye:

- todos los grupos de edad;
- fármacos biológicos;
- enfermedades huérfanas.

La ley PREA requiere que la evaluación pediátrica se aplique al tratamiento de la misma enfermedad o indicación que en el caso de los adultos. Establece que se pueden solicitar exenciones y aplazamientos, los cuales se deben acordar antes

de presentar la solicitud de autorización a la Administración de Medicamentos y Alimentos de EE. UU. (FDA).

La segunda ley, que es la Ley sobre los Mejores Medicamentos de Uso Infantil (BPCA) (2007), es opcional, pero la finalización del proceso establecido en esta ley conlleva un incentivo, que consiste en la exclusividad durante un período de 6 meses adicional (exclusividad pediátrica voluntaria) durante el cual se impide la introducción de especialidades farmacéuticas genéricas en el mercado. El resultado del procedimiento es una solicitud por escrito de la FDA, la cual se debe acordar antes de iniciar el trabajo con el fármaco pediátrico. Una vez que la compañía acepta este acuerdo, es legalmente vinculante. La ley en materia de exclusividad pediátrica voluntaria ofrece incentivos a quienes completen los estudios pediátricos de acuerdo con la solicitud por escrito. Los productos biológicos están excluidos.

Toda la legislación de Estados Unidos tiene una duración limitada al final de la cual es necesario volver a obtener la autorización del Congreso de Estados Unidos. La ley en materia de exclusividad pediátrica se autorizó de nuevo de acuerdo con la Ley de Seguridad e Innovación (FDASIA) de la FDA en el año 2002. La ley FDASIA requiere un análisis pediátrico inicial en colaboración con la FDA, normalmente al final de la fase II de desarrollo clínico.

Fuera de la Unión Europea, Estados Unidos y Japón, actualmente no se aplica ningún requisito legislativo específico para el desarrollo de fármacos pediátricos, pero esto puede cambiar en el futuro. A pesar de la ausencia de legislación, algunos mercados requieren datos pediátricos locales para la autorización de comercialización.

El desarrollo de fármacos ya no es posible sin tener en cuenta a los niños debido a la legislación mencionada. Esto ha tenido como resultado un desarrollo de fármacos pediátricos equiparable en mayor medida al desarrollo de fármacos para

adultos y un aumento del desarrollo de fármacos pediátricos. Por consiguiente, en la actualidad se desarrollan más fármacos pediátricos.

## Comparación de la legislación en materia de desarrollo de fármacos pediátricos de la UE y Estados Unidos

En la tabla siguiente se compara la legislación en materia de desarrollo de fármacos pediátricos de la UE y Estados Unidos.

Tabla de comparación de la legislación en materia de desarrollo de fármacos pediátricos de la UE y Estados Unidos

	<b>Estados Unidos</b>	<b>Unión Europea</b>
Base legal	Dos procesos independientes: Ley de Equidad de Investigación Pediátrica (PREA) (requisito) Ley sobre los Mejores Medicamentos de Uso Infantil (BPCA) (incentivo)	Unificación de acuerdo con la legislación: Reglamento sobre medicamentos para uso pediátrico (1901/2006)
Definición de población pediátrica	Menos de 16 años de edad	Menos de 18 años de edad

	<b>Estados Unidos</b>	<b>Unión Europea</b>
Ámbito de aplicación	Se requiere para todos los productos, principios activos, indicaciones, formulaciones, pautas posológicas o vías de administración nuevos.	Se requiere para todas las solicitudes de autorización de comercialización y los cambios en los productos autorizados protegidos por patentes (indicaciones, formulaciones o vías de administración nuevos).
Confidencialidad	Los planes pediátricos son confidenciales. Solamente se hacen públicos resúmenes de los estudios pediátricos.	Las decisiones relacionadas con los Planes de Investigación Pediátrica (PIP) son públicas.
Desarrollo	Se fomenta el análisis de los requisitos para el desarrollo de fármacos pediátricos y los estudios asociados durante el desarrollo.	La información definitiva sobre el Plan de Investigación Pediátrica (PIP) se solicita al inicio del procedimiento de desarrollo.

	<b>Estados Unidos</b>	<b>Unión Europea</b>
<p>Solicitud de autorización para productos biológicos/solicitud de autorización de una especialidad farmacéutica/solicitud de autorización de comercialización</p>	<p>La presentación se deniega si los datos pediátricos o la solicitud de exención o aplazamiento de los requisitos para el desarrollo de fármacos pediátricos no se incluyen en la solicitud (no se requiere la aprobación previa de la información).</p>	<p>La presentación se deniega si la solicitud de autorización de comercialización no incluye un PIP o una exención/aplazamiento aprobados previamente.</p>
<p>Procedimiento</p>	<p>Procedimiento y plazos generalmente flexibles para la obtención de respuestas durante el desarrollo.</p>	<p>Procedimiento inflexible con plazos estrictos.</p>

	<b>Estados Unidos</b>	<b>Unión Europea</b>
Organismos responsables de la revisión	Las recomendaciones del Comité de Revisión Pediátrica (PeRC) no son vinculantes. La Administración de Medicamentos y Alimentos de EE. UU. (FDA) tiene la última palabra.	Las recomendaciones del Comité Pediátrico (PDCO) son vinculantes y pueden entrar en conflicto con lo que establezca el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP).
Investigación de distintas indicaciones para la población pediátrica	La FDA no puede solicitar una investigación pediátrica de ninguna indicación para la que el solicitante no tenga previsto obtener una autorización.	El Comité Pediátrico (PDCO) puede solicitar una investigación de las indicaciones para la población pediátrica distintas de las indicaciones para adultos.

	<b>Estados Unidos</b>	<b>Unión Europea</b>
Datos aceptados en la solicitud	Los datos de Estados Unidos son obligatorios (solo se permite lo contrario en circunstancias especiales). Los datos no procedentes de Estados Unidos se pueden incluir como «información complementaria» si esto se hace de acuerdo con los requisitos de Estados Unidos.	Se aceptan datos de todo el mundo.
Período posterior a la comercialización	Se requiere una evaluación pública de la seguridad pediátrica (comité asesor pediátrico).	No se requiere ninguna evaluación pública de la seguridad pediátrica.

## Referencias

1. European Parliament (2006). *Regulation (EC) No 1901/2006 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 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>

A2-1.18.5-v1.3