

# **Fármacos pediátricos: retos en las primeras fases del desarrollo**

## **Introducción**

El desarrollo de fármacos para niños plantea retos científicos y reglamentarios. Los investigadores deben determinar el momento oportuno para introducir una nueva sustancia de interés médico para niños, lo cual es una decisión que requiere un análisis y una planificación minuciosos.

## **¿Cuándo se debe iniciar el desarrollo de un fármaco pediátrico?**

Antes de estudiar un nuevo fármaco en seres humanos, este ya se ha investigado en una medida considerable, lo que incluye el uso en animales. Los primeros estudios con seres humanos se centran en la seguridad del fármaco en adultos y, a continuación, se debe determinar si el fármaco funciona («estudio de viabilidad») antes de iniciar ensayos de confirmación de mayores dimensiones diseñados para informar sobre la seguridad y la eficacia. En determinado momento durante los estudios clínicos, es necesario analizar el desarrollo del fármaco pediátrico y considerar la posibilidad de iniciar el proceso.

El momento adecuado para realizar el análisis depende del proyecto individual. No obstante, este análisis siempre se debe realizar al inicio del desarrollo para disponer de tiempo suficiente para diversas actividades, como el desarrollo de

nuevas formulaciones y la realización de los ensayos clínicos y no clínicos correspondientes. El momento adecuado para incluir el desarrollo de fármacos para niños suele depender de la enfermedad y las necesidades no cubiertas, y del hecho de que el fármaco sea novedoso (nuevo) o de que forme parte de un grupo de fármacos cuyo mecanismo es bien conocido. Esto también depende de los requisitos de las autoridades sanitarias (por ejemplo, este proceso tiene lugar antes en la Unión Europea que en Estados Unidos). Los acuerdos entre la Unión Europea y Estados Unidos también pueden variar.

## **Legislación 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<sup>1</sup>. Esta ley requiere incluir antes a los niños en el proceso de desarrollo de fármacos. Se establece 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.

Lo ideal, sobre todo cuando un fármaco tiene potencial terapéutico para su uso en poblaciones de adultos y pediátricas, es que el objetivo del promotor sea el desarrollo prácticamente paralelo del fármaco pediátrico desde el momento en el que se inician los estudios clínicos del fármaco en adultos. Esto implica que el fármaco podría estar disponible para niños al mismo tiempo o poco después que en el caso de los adultos. Aunque el análisis tiene lugar en paralelo, es posible que los resultados se obtengan de manera escalonada en los desarrollos para adultos y población pediátrica.

# Referencias

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