

Het ontwikkelen van geneesmiddelen voor kinderen: Overzicht

Inleiding

In de jaren zestig werden geneesmiddelen op werkzaamheid getest bij volwassenen maar niet bij kinderen. Zorgverleners hadden geen andere keuze dan geneesmiddelen die waren toegelaten voor volwassenen 'off-label' bij kinderen te gebruiken, met de bijbehorende risico's van niet-werkzaamheid of ongewenste bijwerkingen.

Farmaceutische bedrijven voerden niet routinematig het benodigde onderzoek en de ontwikkeling uit om geneesmiddelen aan te passen aan de behoeften van de pediatrische populatie.

Vandaag de dag wordt meer dan de helft van de geneesmiddelen die worden gebruikt voor de behandeling van kinderen 'off-label' gebruikt – dat wil zeggen dat ze nooit echt bestudeerd zijn in deze populatie en niet altijd worden gebruikt om dezelfde ziekten bij kinderen te behandelen als bij volwassenen.

De hiaten in geneesmiddelen voor kinderen aanpakken

In reactie op de afwezigheid van voldoende geschikte goedgekeurde geneesmiddelen voor de behandeling van aandoeningen bij kinderen, werden er in de EU en de VS richtlijnen opgesteld om:

- De tijdige ontwikkeling van geneesmiddelen voor kinderen aan te moedigen en mogelijk te maken

- Ervoor te zorgen dat de gebruikte geneesmiddelen correct en ethisch zijn onderzocht en ontwikkeld
- Ervoor te zorgen dat geneesmiddelen gericht worden toegelaten voor gebruik in de pediatrische populatie
- De beschikbare informatie over gebruik van geneesmiddelen bij kinderen te verbeteren
- 'Off-label'-gebruik helpen te verminderen

De sponsor moet zich al vroeg in de ontwikkelingsfase afvragen of het geneesmiddel geschikt is voor ontwikkeling voor de pediatrische populatie. Het juiste moment om de ontwikkeling van geneesmiddelen voor kinderen in het proces op te nemen hangt vaak af van de ziekte en de onvervulde (bstaande) behoefte. Het zal ook afhangen of het geneesmiddel geheel nieuw is of deel uitmaakt van een groep geneesmiddelen waarbij het mechanisme al goed begrepen wordt.

Kinderen zijn een kwetsbare subgroep en voor de ontwikkeling van geneesmiddelen voor kinderen moeten speciale maatregelen worden genomen om hen te beschermen tegen overmatige risico's. Optimalisatie van de onderzoeksopzet en ethische aspecten in onderzoeken met kinderen vormen slechts een deel van wat nodig is. Leeftijdsspecifieke formuleringen zijn essentieel om problemen zoals moeite met doorslikken van tabletten op te lossen als er geen drankje beschikbaar is. Ook kunnen andere smaken, kleuren en smaakmaskering vereist zijn.

Als gevolg van de wetgeving in de EU en de VS, is geneesmiddelen ontwikkeling niet meer mogelijk zonder rekening te houden met kinderen, waardoor pediatrische ontwikkeling meer in lijn komt met geneesmiddelen ontwikkeling voor volwassenen. Deze verandering heeft geleid tot groei in de pediatrische geneesmiddelenontwikkeling, er worden meer geneesmiddelen ontwikkeld voor kinderen.