

Kinder- und Jugendmedizin: Herausforderungen einer frühzeitigen Entwicklung

Einleitung

Die Entwicklung von Arzneimitteln für Kinder stellt sowohl eine wissenschaftliche als auch eine regulatorische Herausforderung dar. Forscher müssen den richtigen Zeitpunkt für die Einführung eines neuen Arzneimittelkandidaten bei Kindern bestimmen. Es handelt sich dabei um eine Entscheidung, die eine sorgfältige Diskussion und Planung erfordert.

Wann sollte die Entwicklung in der Population der Kinder und Jugendlichen begonnen werden?

Bevor ein Arzneimittel beim Menschen untersucht wird, wurde es bereits einer bedeutsamen Anzahl an Untersuchungen, einschließlich bei Tieren, unterzogen. Frühe Studien beim Menschen konzentrieren sich auf die Sicherheit des Arzneimittels und gehen dann dazu über, zu bestimmen, ob das Arzneimittel wirkt („Machbarkeitsnachweis“), bevor mit umfassenderen konfirmatorischen Studien begonnen wird, die sowohl über die Sicherheit als auch die Wirksamkeit informieren sollen. Zu irgendeinem Zeitpunkt während der klinischen Studien sollte die Entwicklung des Arzneimittels in der Population der Kinder und Jugendlichen diskutiert und potenziell begonnen werden.

Der tatsächliche Zeitpunkt der Diskussion hängt vom jeweiligen Projekt ab. Allerdings sollte er immer frühzeitig in den

Entwicklungsdiskussionen angesetzt sein, um ausreichend Zeit für verschiedene Maßnahmen, einschließlich der Entwicklung neuer Formulierungen und angemessener nicht klinischer und klinischer Prüfungen, zu ermöglichen. Der richtige Zeitpunkt zur Aufnahme der Arzneimittelentwicklung in der Population der Kinder hängt oftmals von der Krankheit und dem ungedeckten Bedarf ab sowie davon, ob das Arzneimittel neuartig oder Teil einer Arzneimittelgruppe ist, deren Wirkmechanismus bereits gut bekannt ist. Der Zeitpunkt hängt zudem von den Bestimmungen der Regulierungsbehörden ab – zum Beispiel ist er in der EU typischerweise früher als in den USA. Vereinbarungen zwischen der EU und den USA können ebenfalls variieren.

Gesetzgebung im Hinblick auf die Entwicklung von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche

In der EU regelt eine einzelne Gesetzesverordnung die Entwicklung von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche und die Zulassung von Arzneimitteln zur Anwendung bei Kindern und Jugendlichen.¹ Diese Gesetzesverordnung gibt vor, dass Kinder in der frühen Phase der Arzneimittelentwicklung berücksichtigt werden: sie fordert, dass ein pädiatrisches Prüfkonzept eingereicht wird, sobald die ersten Studien beim Menschen abgeschlossen sind und die Wirkung des Arzneimittels verstanden wurde. Die Gesetzgebung schafft zudem Anreize für jene, die diese Forderung erfüllen und ihr pädiatrisches Prüfkonzept pünktlich einreichen.

Idealerweise und insbesondere, wenn ein Arzneimittel das Potenzial zur Anwendung sowohl in der Population der Erwachsenen als auch in der Population der Kinder und Jugendlichen besitzt, strebt der Sponsor eine nahezu parallele Entwicklung in der Population der Kinder und Jugendlichen ab dem Zeitpunkt an, ab dem das Arzneimittel in klinischen Studien bei Erwachsenen geprüft wird. Dies würde bedeuten,

dass das Arzneimittel für Kinder zum gleichen Zeitpunkt wie für Erwachsene oder kurz danach erhältlich sein würde. Obwohl die Diskussion parallel stattfindet, kann es zu zeitversetzten Entwicklungsplänen für die Population der Erwachsenen und die Population der Kinder und Jugendlichen kommen.

Quellenangaben

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