

# Läkemedel för barn: Förordningar och andra påverkansfaktorer

## Förordningar som reglerar utvecklingen av läkemedel för barn

I EU är det en enda förordning som reglerar utvecklingen av läkemedel för barn och godkännandet av läkemedel som ska användas hos barn. EU-förordningarna (EG) nr 1901/2006<sup>1</sup> och (EG) nr 1902/2006<sup>2</sup> kräver att barn involveras tidigare i läkemedelsutvecklingen: de kräver att ett pediatrikt prövningsprogram lämnas in när de första studierna på människor har slutförts, då man börjar få en förståelse för läkemedlets effekt. Lagstiftningen tillhandahåller dessutom incitament till dem som uppfyller detta krav och lämnar in sitt pediatrika prövningsprogram i tid.

USA har två lagar som reglerar utvecklingen av läkemedel för barn. I den första, Pediatric Research Equity Act (PREA) (2003), föreskrivs att pediatrika prövningsprogram behövs i de flesta fall och att en överenskommelse ska finnas avseende pediatrik bedömning. Den omfattar:

- Alla åldersgrupper
- Biologiska läkemedel
- Sällsynta sjukdomar

Enligt PREA krävs att den pediatrika bedömningen gäller för behandlingen av samma sjukdom eller indikation som hos vuxna. Den anger att undantag och uppskov kan begäras, men att dessa måste godkännas innan en licensansökan lämnas in till amerikanska Food and Drug Administration (FDA).

Den andra lagen, Best Pharmaceuticals for Children Act (BPCA) (2007), är frivillig, men det finns ett incitament för att genomföra BPCA-förfarandet: 6 månaders ytterligare ensamrätt till marknaden (Voluntary Paediatric Exclusivity (PE)) för läkemedlet. Under denna period får inga generiska läkemedel komma in på marknaden. Resultatet av förfarandet är en skriftlig begäran från FDA som ska accepteras innan det pediatrika arbetet påbörjas. När företaget har accepterat begäran blir den juridiskt bindande. Voluntary Paediatric Exclusivity-lagen (PE) innehåller incitament för dem som genomför de pediatrika studierna i enlighet med den skriftliga begäran. Biologiska läkemedel är undantagna.

All amerikansk lagstiftning har en begränsad giltighet. I slutet av denna period måste den godkännas på nytt av den amerikanska kongressen. PE-lagen godkändes på nytt under FDA Safety & Innovation Act (FDASIA) år 2002. FDASIA kräver att tidiga pediatrika samtal förs med FDA, vanligen i slutet av fas II av den kliniska utvecklingen.

Förutom i EU, USA och Japan finns för närvarande inga särskilda lagkrav rörande läkemedel för barn, men detta kan ändras framöver. Trots denna brist på lagstiftning kräver vissa marknader att lokala pediatrika data uppvisas för att läkemedlet ska godkännas för försäljning.

Till följd av sådan lagstiftning går det inte längre att utveckla läkemedel utan att ta hänsyn till barn. Detta har medfört att utvecklingen av läkemedel för barn i allt större utsträckning överensstämmer med läkemedelsutvecklingen för vuxna, vilket har resulterat i ökad pediatrik utveckling. Detta har lett till att fler läkemedel utvecklas för barn.

## **Jämförelse av EU:s och USA:s**

# Lagstiftning rörande läkemedel för barn.

I tabellen nedan jämförs lagstiftningen rörande läkemedel för barn i EU och i USA.

Tabell med en jämförelse av EU:s och USA:s lagstiftning rörande läkemedel för barn.

	USA	EU
Rättslig grund	Två separata processer: Pediatric Research Equity Act (PREA) (krav) Best Pharmaceuticals for Children Act (BPCA) (incitament)	Förenade i lagen: Förordningen om läkemedel för barn (1901/2006)
Definition av barnpopulation	Under 16 år	Under 18 år
Omfattning	Krävs för alla nya produkter, aktiva substanser, indikationer, doseringsformer, doseringsscheman eller administreringsvägar.	Måste uppfyllas för alla nya ansökningar om godkännande för försäljning och ändringar av patentskyddade godkända produkter (nya indikationer, läkemedelsformer, administreringsvägar).
Sekretess	Pediatrika prövningsprogram är konfidentiella. Endast sammanfattningar av pediatrika studier offentliggörs.	Beslut avseende pediatrika prövningsprogram är offentliga.

	USA	EU
Utveckling	Det rekommenderas att diskussioner avseende pediatrika krav och relaterade studier förs under utvecklingsarbetet.	Slutgiltig information om det pediatrika prövningsprogrammet efterfrågas tidigt under utvecklingsarbetet.
Licensansökan för biologiska läkemedel/ansökan om nytt läkemedel/ansökan om godkännande för försäljning	Ansökan avslås om pediatrika data och/eller begäran om undantag från och/eller uppskov med pediatrika krav inte medföljer ansökan (upplysningar behöver inte godkännas i förväg).	Ansökan avslås om ansökan om godkännande för försäljning inte innehåller ett i förväg godkänt pediatrikt prövningsprogram eller undantag/uppskov.
Förfarande	Generellt flexibla förfaranden och tidsplaner används för inhämtning av återkoppling under utvecklingsfasen.	Strikt förfarande med strikt tidsplan.
Prövningsorgan	Rekommendationer från Paediatric Review Committee (PeRC) är inte bindande, amerikanska Food and Drug Administration (FDA) har sista ordet.	Rekommendationer från den pediatrika kommittén (PDCO) är bindande och kan strida mot kommittén för humanläkemedel (CHMP).
Undersökning av andra indikationer inom barnpopulationen	FDA kan inte begära att pediatrik undersökning genomförs på indikationer som den sökande inte planerar att söka licens för.	PDCO kan begära att andra indikationer undersöks inom barnpopulationen än de som undersöks hos vuxna.

	USA	EU
Godkända uppgifter i ansökan	Amerikanska uppgifter ska användas (något annat kan endast godkännas vid särskilda omständigheter). Uppgifter från andra ställen än USA kan ingå som "understödjande" om de har inhämtats i enlighet med amerikanska krav.	Uppgifter från hela världen accepteras.
Post-Marketing	En offentlig bedömning av den pediatrika säkerheten krävs (Paediatric Advisory Committee).	Det krävs ingen offentlig bedömning av den pediatrika säkerheten.

## Referenser

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>