

# Läkemedel för barn: Speciella överväganden

## Inledning

Det är viktigt att vidta speciella åtgärder och överväganden vid utveckling av läkemedel för barn, för att skydda barnen från onödiga risker under utvecklingsprocessen. Följande artikel täcker vissa av dessa speciella överväganden, särskilt beredning av läkemedel för barn och optimering av upplägg för pediatrika kliniska prövningar. De etiska implikationerna för pediatrika studier diskuteras också nedan.

## Relevanta frågeställningar

Ett antal frågor bör ställas av sponsorn tidigt i utvecklingen för att utvärdera hur lämpligt det är att utveckla ett läkemedel för den pediatrika populationen.

- Finns det någon allvarlig eller livshotande sjukdom där behandling med produkten skulle medföra ett potentiellt framsteg?
- Är det relevant med pediatrik utveckling – alltså, existerar de avsedda indikationerna (tillstånd som kandidatläkemedlet ska behandla) hos barn?
- Hur sannolik är användningen i olika åldersintervall (pediatrika undergrupper är definierade av ICH) och hur ofta och i vilken form förekommer sjukdomen på barn?
- Hur allvarligt är tillståndet?
- Finns det ett uppdämt behov av läkemedel för barn? Vilken är den signifikanta terapeutiska nyttan (med tanke på tillgängliga och lämpliga alternativa behandlingar)?
- Finns det unika pediatrika indikationer för läkemedlet?
- Är läkemedlet nytt eller har det en känd komponent (en

aktiv substans som tidigare använts för att behandla vuxna)?

- Har den aktiva substansen potential inom andra behandlingsområden?
- Finns det någon unik säkerhetsproblematik? Vad är läkemedlets kända säkerhetsprofil (t.ex. icke-kliniska fynd)?
- Finns det ett potentiellt behov av att ta fram åldersspecifik pediatrik beredning? Skulle detta vara möjligt att utveckla (beträffande lämpliga innehållsämnens tillgänglighet)?
- Är det genomförbart med kliniska prövningar på en pediatrik population?

## Bereda läkemedel för barn

Kliniska prövningar är endast en del av svaret. Det är också viktigt med åldersspecifika beredningar för att lösa:

- svårigheter att svälja tabletter om läkemedlet ej finns i flytande form,
- allvarliga beräkningsfel när vuxna beredningar används till en pediatrik dosering **eller**
- användning eller mängd av hjälpämnen (inaktiva innehållsämnena) som är olämpliga för barn.

Därtill måste man överväga alternativa administreringssystem, t.ex.

- doft och smak,
- vätskor, suspensioner eller tuggbara tabletter,
- smakmaskning kan krävas,
- olika behov mellan åldersgrupper,
- samma storlek passar inte alla.

**European Paediatric Formulation**

# Initiative (EuPFI)

European Paediatric Formulation Initiative (EuPFI)<sup>1</sup> bildades 2007 av en grupp som representerade läkemedelsbranschen, sjukhus och akademiker – intressenter som alla är involverade i forskning om barnläkemedel för att skapa bättre läkemedel för barn.

Huvudmålet för EuPFI var att lösa vetenskapliga, juridiska och tekniska problem inom utveckling av pediatrika beredningar genom att:

- identifiera utmaningarna som associeras med utveckling av pediatrika beredningar,
- höja medvetandet och förbättra läkemedel och doseringsformer för barn,
- identifiera potentiella kunskapsluckor beträffande utveckling av pediatrika beredningar,
- stödja tidiga farmaceutiska överväganden vid utveckling av läkemedel för barn,
- förbättra tillgängligheten till information om pediatrika beredningar.

## Optimera utformningen av pediatrika kliniska prövningar

I mars 2012 träffades FDA (amerikanska läkemedelsverket) och kommittén för farmaceutisk vetenskap och klinisk farmakologi för att diskutera förbättringar av upplägg samt dosering vid kliniska prövningar för barn. Kommittén rekommenderade att man använde modellering och simulering (M&S) för att prediktera vad som händer i en pediatrik klinisk prövning när en särskild läkemedelsdos ges.

I detta möte kom majoriteten av kommittén (12 av 13 läkare) överens om att doser till ungdomspopulationen (> 12 år) kan härledas från vuxna data utan att det krävs någon speciell

farmakokinetisk studie. Vissa kommittémedlemmar rekommenderade dock att detta tillvägagångssätt skulle prövas från läkemedel till läkemedel. Ytterligare information finns på FDA:s webbplats.<sup>2</sup>

## Etiska frågor vid studier på barn

Barn är en utsatt undergrupp och kräver särskilda åtgärder för att skyddas från onödiga risker. Det är viktigt att arbeta med etikkommittéer som är vana vid pediatrika populationer för att se till att:

- rekryteringen inte innefattar olämpliga incitament,
- medgivandet ges i form av undertecknat informerat samtycke från förälder eller vårdnadshavare, äldre barn också själva kan skriva under ett informerat samtycke eller på annat sätt ge sitt samtycke,
- deltagarna är helt informerade på ett språk som de kan förstå,
- studierna minimerar risker,
- studierna minimerar stress – studiepersonalen bör vara vana vid att handskas med barn och
- studieprotokollet är specialupplagt för populationen.

## Resurser

- Rose, K., & Van den Anker, J. (Eds.). (2007). *Guide to paediatric clinical research*. Basel: Karger.
- Rose, K., & Van den Anker, J. (Eds.). (2010). *Guide to paediatric drug development and clinical research*. Basel: Karger.

## Referenser

1. Mer information om EuPFI finns på deras hemsida: <http://www.eupfi.org/> (Hämtad 24 augusti 2015).

2. Food and Drug Administration (2012). *Summary minutes of the advisory committee for pharmaceutical science and clinical pharmacology March 14, 2012*. Retrieved 11 July, 2021 from <https://web.archive.org/web/20161023224355/http://www.fda.gov/downloads/AdvisoryCommittees/CommitteesMeetingMaterials/Drugs/AdvisoryCommitteeForPharmaceuticalScienceandClinicalPharmacology/UCM306989.pdf>

A2-1.18.2-v1.2