

# Läkemedel för barn: Utmaningar vid tidig utveckling

## Inledning

Det innebär en både vetenskaplig och juridisk utmaning att utveckla läkemedel för barn. Forskare måste avgöra rätt tid för att introducera ett nytt kandidatläkemedel på barn, ett beslut som kräver noggrann diskussion och planering.

## När ska utvecklingen på barn börja?

Innan ett nytt läkemedel studeras på människor har det redan genomgått en signifikant mängd forskning, t.ex. på djur. Tidiga humanstudier fokuseras på läkemedlets säkerhet för vuxna. Man börjar sedan avgöra om läkemedlet fungerar (konceptvalidering) innan man startar större bekräftande prövningar, som är avsedda att påvisa både säkerhet och effekt. I ett visst läge under de kliniska studierna bör pediatrik utveckling av läkemedlet diskuteras och potentiellt starta.

Tidpunkten för sådana diskussioner beror på det enskilda projektet, men lämpligast är ganska snart i utvecklingsfasen för att lämna tillräckligt med utrymme för olika aktiviteter t.ex. att ta fram nya beredningar och utföra lämpliga icke-kliniska och kliniska prövningar. Rätt tid för att inkludera utveckling av läkemedel för barn avgörs ofta av sjukdomen i sig och hur stort behovet är, samt om läkemedlet är nytt eller ingår i en grupp läkemedel där verkningsmekanismen redan är genomstuderad. Tidpunkten beror också på myndigheternas krav – den ligger t.ex. vanligen tidigare inom EU än i USA. Avtal mellan EU och USA kan också variera.

# Lagstiftning om utveckling av läkemedel för barn

I EU finns det en enda förordning som reglerar utveckling av läkemedel för barn och godkännande av läkemedel som ska användas på barn.<sup>1</sup> Denna lagstiftning kräver att barn ska involveras tidigare i läkemedelsutvecklingen. Den 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.

Optimalt är det, särskilt om ett läkemedel har potential att användas på både vuxna och barn, om sponsorns mål är att ha pediatrik utveckling näst intill parallell med att de kliniska läkemedelsstudierna på vuxna påbörjas. Detta skulle innebära att läkemedlet blir tillgängligt för barn samtidigt med, eller kort efter, att det blir tillgängligt för vuxna. Även om diskussionerna sker parallellt kan ändå utfallet bidra till att utvecklingsplanerna för vuxna eller barn förskjuts.

## Referenser

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