

# **Lek pediatryczny: problemy na wczesnych etapach rozwoju**

## **Wprowadzenie**

Rozwój leków dla dzieci jest wyzwaniem zarówno z naukowego, jak i regulacyjnego punktu widzenia. Badacze muszą określić odpowiedni moment do wprowadzenia nowego kandydata na lek u dzieci, a decyzja ta wymaga dokładnego omówienia i zaplanowania.

## **Kiedy powinny rozpocząć się prace pediatryczne?**

Zanim nowy lek zostanie przebadany u ludzi, przechodzi wiele innych badań, także na zwierzętach. Wczesne badania z udziałem ludzi skupiają się na bezpieczeństwie stosowania leku u dorosłych. Kolejnym etapem jest określenie, czy lek działa zgodnie z oczekiwaniami (słuszności koncepcji), co ma miejsce przed rozpoczęciem większych potwierdzających badań klinicznych, zaprojektowanych w celu uzyskania informacji zarówno o bezpieczeństwie, jak i o skuteczności stosowania. W pewnym momencie podczas badań klinicznych należy omówić i ewentualnie rozpocząć prace pediatryczne.

Moment przeprowadzenia takiej dyskusji zależy od projektu, jednak zawsze powinien mieć miejsce na wczesnym etapie, aby zapewnić czas na różne działania, w tym na opracowanie nowych postaci leku i odpowiednie badania niekliniczne i kliniczne. Odpowiedni moment na włączenie rozwoju leków dla dzieci zależy często od choroby i potrzeby terapeutycznej. Zależy także od tego, czy lek jest innowacyjny (nowy), czy też należy do grupy leków o dobrze znanym mechanizmie działania. Termin zależy także od wymagań organów nadzoru – na przykład w UE zwykle ma

miejsce wcześniej niż w USA. Uzgodnienia między UE i USA także mogą być różne.

## **Akty prawne dotyczące rozwoju leków pediatrycznych**

W Unii Europejskiej rozwój i rejestracja leków do stosowania u dzieci podlegają jednemu aktowi prawnemu.<sup>1</sup> Wprowadza on obowiązek uwzględniania dzieci na wcześniejszym etapie rozwoju leku: zobowiązuje do przesłania Planu Badania Pediatrycznego (PIP) po zakończeniu pierwszych badań z udziałem ludzi, kiedy pojawia się wiedza na temat efektu działania leku. Przepisy prawa zawierają zachętę do spełnienia tego wymogu i terminowego przesłania planu PIP.

Idealnym rozwiązaniem, szczególnie w przypadku możliwości stosowania leku zarówno u dzieci, jak i u dorosłych, jest organizacja prac rozwojowych przez sponsora w taki sposób, aby rozwój pediatryczny przebiegał niemal równoległe do rozwoju leku dla dorosłych od momentu rozpoczęcia badań klinicznych z udziałem dorosłych. W ten sposób lek mógłby być dostępny dla dzieci w tym samym czasie jak dla dorosłych lub niewiele później. Mimo że dyskusje przebiegają równoległe, wyniki planów dla dorosłych i dla dzieci mogą być przesunięte.

## **Piśmiennictwo**

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