Medicamente pediatrice: Considerații speciale

Introducere

În timpul dezvoltării medicamentelor pediatrice, sunt necesare măsuri și considerații speciale, care au rolul de a proteja copiii împotriva evenimentelor adverse care pot fi evitate în timpul procesului de dezvoltare a medicamentelor. Următorul articol acoperă câteva dintre aceste considerații speciale, mai ales cele privind formularea medicamentelor pentru copii și optimizarea structurii studiilor clinice pediatrice. Mai jos sunt discutate, de asemenea, și implicațiile etice ale studiilor pediatrice.

Întrebări de luat în considerare

În primele faze ale dezvoltării, sponsorul trebuie să ia în considerare câteva întrebări pentru a evalua adecvanța dezvoltării unui medicament pentru populația pediatrică.

- Există boli grave sau fatale pentru care produsul reprezintă un potențial progres terapeutic important?
- Este dezvoltarea pediatrică relevantă – mai exact, indicațiile stabilite (afecțiunile pe care medicamentul candidat urmărește să le trateze) există la copii?
- Cât de probabilă este utilizarea în cazul pacienților din diferite intervale de vârstă (respectiv al subseturilor pediatrice, conform definiției ICH) și cât de des sau în ce mod apare boala la copii?
- Cât de gravă este boala?
- Există o nevoie medicală neîndeplinită la copii? Care este beneficiul terapeutic semnificativ? (Luând în considerare disponibilitatea și adecvanța tratamentelor

alternative.)
- Există indicații pediatrice unice pentru medicament?
- Medicamentul este nou sau are o componentă cunoscută (o substanță activă utilizată anterior pentru tratarea adulților)?
- Substanța activă poate avea potențial în alte domenii terapeutice?
- Există aspecte unice legate de siguranță? Care este profilul cunoscut de siguranță al medicamentului (inclusiv datele non-clinice)?
- Există o potențială nevoie privind dezvoltarea unei formule pediatrice speciale? Există posibilitatea de dezvoltare a acesteia (luând în calcul disponibilitatea ingredientelor corespunzătoare)?
- Sunt fezabile studiile clinice asupra populației pediatrice?

Formularea medicamentelor pentru copii

Studiile clinice sunt doar o parte a elementelor necesare. Formulele speciale pentru anumite categorii de vârstă sunt, de asemenea, esențiale pentru rezolvarea următoarelor probleme:

- Dificultățile de înghițire a comprimatelor dacă nu este disponibil un sirop;
- Erorile grave de calcul care pot apărea dacă formula pentru adulți este utilizată pentru calcularea dozei pediatrice **sau**
- Utilizarea sau cantitatea excipienților (ingredientele inactive) care ar putea fi inadecvați pentru copii.

În plus, trebuie luate în calcul sistemele și caracteristicile alternative de administrare, cum ar fi:

- Gusturile și culorile
- Lichidele, suspensiile și comprimatele masticabile

- Poate fi necesară mascarea gustului
- Acestea pot fi diferite pentru fiecare categorie de vârstă
- Nu există o soluție adecvată pentru toată lumea

Inițiativa Europeană pentru Formulele Pediatrice (European Paediatric Formulation Initiative – EuPFI)

Inițiativa Europeană pentru Formulele Pediatrice (EuPFI)[1] a fost înființată în 2007 de către un grup de reprezentanți ai industriei farmaceutice, spitalelor și mediului academic – părți implicate în cercetarea medicamentelor pediatrice și interesate de crearea unor medicamente mai bune pentru copii.

Principalul obiectiv al EuPFI era de a rezolva problemele științifice, tehnologice și de reglementare asociate dezvoltării formulelor pediatrice prin:

- Identificarea provocărilor asociate dezvoltării formulelor pediatrice
- Sporirea conștientizării și îmbunătățirea medicamentelor și a formelor de dozare a acestora pentru copii
- Identificarea potențialelor lacune în informațiile privind dezvoltarea formulelor pediatrice
- Promovarea discutării cât mai timpurii a opțiunii de dezvoltare a medicamentelor pediatrice
- Îmbunătățirea disponibilității informațiilor privind formulele pediatrice

Optimizarea structurii studiilor clinice pediatrice

În luna martie 2012, Comitetul Consultativ pentru Știință Farmaceutică și Farmacologie Clinică al Administrației Alimentelor și Medicamentelor (Food and Drug Administration –

FDA) din S.U.A. s-a întrunit pentru a discuta metodele de îmbunătățire a structurii și dozelor studiilor clinice pediatrice. Acest comitet a recomandat utilizarea modelelor informatice și simulărilor pentru predicția efectelor administrării unei anumite doze de medicament într-un studiu clinic pediatric.

În decursul aceleiași ședințe, majoritatea membrilor comitetului (12 din 13 medici) a fost de acord că dozele pentru populația de adolescenți (>12 ani) pot fi derivate pe baza datelor pentru adulți, în absența unui studiu farmacocinetic (FC) special; unii dintre membrii comitetului au recomandat, însă, ca această opțiune să fie analizată pentru fiecare medicament în parte. Pentru mai multe informații, accesați site-ul web FDA.[2]

Aspectele etice ale studiilor pediatrice

Copiii sunt un sub-grup vulnerabil, iar protecția acestora împotriva riscurilor care pot fi evitate necesită măsuri speciale. Colaborarea cu comitetele de etică familiarizate cu populațiile pediatrice este importantă pentru:

- Prevenirea includerii unor stimulente inadecvate în procesul de recrutare;
- Acordarea consimțământului prin intermediul unui formular de consimțământ informat, semnat de către părinți sau un tutore legal. Semnarea formularului de consimțământ informat de către copiii mai mari sau acordarea consimțământului de către aceștia;
- Informarea exhaustivă a participanților într-un limbaj pe care aceștia îl pot înțelege;
- Reducerea la minimum a riscurilor implicate de studiu;
- Reducerea la minimum a disconfortului cauzat de studiu; personalul studiului trebuie să aibă experiență în

lucrul cu copiii;
- Conceperea unui protocol de studiu special pentru populația respectivă.

Resurse

- Rose, K., & Van den Anker, J. (Eds.). (2007). *Guide to paediatric clinical research* (Ghid de cercetare clinică pediatrică). Basel: Karger.
- Rose, K., & Van den Anker, J. (Eds.). (2010). *Guide to paediatric drug development and clinical research* (Ghid de dezvoltare și cercetare clinică a medicamentelor pediatrice). Basel: Karger.

Referințe

1. More information on EuPFI is available from their website: http://www.eupfi.org/ (Retrieved 24 August, 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