

Opracowywanie leków dla dzieci: Omówienie

Wprowadzenie

W latach 60. ubiegłego wieku badano skuteczność działania leku u dorosłych, ale nie u dzieci. Lekarze nie mieli wyboru, musieli podawać leki zarejestrowane dla dorosłych dzieciom poza zarejestrowanymi wskazaniami (ang. off label), ryzykując brak skuteczności działania lub wystąpienie działań niepożądanych.

Firmy farmaceutyczne nie przeprowadzały rutynowo działań badawczo-rozwojowych w celu dostosowania leków do potrzeb populacji pediatrycznej.

Obecnie w krajach UE ponad połowa leków jest stosowana do leczenia dzieci „poza zarejestrowanymi wskazaniami” – co oznacza, że nigdy nie zostały przebadane w tej populacji i nie zawsze są wykorzystywane do leczenia u dzieci takich samych chorób jak u dorosłych.

Rozwiązywanie problemów dotyczących leków pediatrycznych

W związku z brakiem odpowiednich, zarejestrowanych leków do leczenia dzieci, w USA i UE opublikowano wytyczne w celu:

- Zachęcania do terminowego opracowywania leków pediatrycznych i ułatwiania go
- Zapewnienia, że stosowane leki są poddawane właściwym i etycznym działaniom badawczo-rozwojowym
- Zapewnienia, że leki są zarejestrowane do stosowania w populacji pediatrycznej

- Poprawienia dostępności informacji dotyczących stosowania leków u dzieci
- Umożliwienia ograniczenia stosowania „poza zarejestrowanymi wskazaniami”

Aby ocenić przydatność rozwoju danego leku w populacji pediatrycznej, sponsor musi rozważyć wiele kwestii już na wczesnym etapie jego opracowywania. Właściwy czas na podjęcie prac rozwojowych nad lekami przeznaczonymi dla dzieci często zależy od choroby i potrzeb terapeutycznych. Zależy także od tego, czy lek jest innowacyjny (nowy), czy też stanowi część grupy leków o dobrze znanym mechanizmie działania.

Ponieważ dzieci są wrażliwą podgrupą, rozwój przeznaczonych dla nich leków wymaga zastosowania szczególnych środków zabezpieczających je przed nadmiernym ryzykiem. Optymalizacja projektu badań klinicznych i problemy etyczne związane z badaniami pediatrycznymi to zaledwie część ważnych w tym wypadku zagadnień. Odpowiednie dla wieku pacjentów postacie leków mają zasadnicze znaczenie ze względu na możliwe trudności takie jak: kłopoty z połykaniem tabletek w przypadku braku syropu. Ponadto mogą być potrzebne inne aromaty, kolory i maskujące smaki.

W efekcie działań prawnych w UE i USA nie można już opracowywać leków, nie biorąc pod uwagę dzieci, co zmniejsza lukę między tymi dwiema gałęziami badawczo-rozwojowymi. Zmiana ta doprowadziła do zwiększenia ilości prac nad lekami pediatrycznymi i częstszego opracowywania leków dla dzieci.

A2-1.18.1-v1.3