Pædiatrisk medicin: Udfordringer i forbindelse med tidlig udvikling

Introduktion

Udvikling af lægemidler til børn er både en videnskabelig og regulatorisk udfordring. Forskere skal fastsætte det rigtige tidspunkt til at introducere et nyt kandidatlægemiddel til børn – en beslutning, der kræver omhyggelig diskussion og planlægning.

Hvornår bør den pædiatriske udvikling begynde?

Før et nyt lægemiddel undersøges på mennesker, er der allerede udført en stor mængde forskning, bl.a. på dyr. De tidlige undersøgelser på mennesker fokuserer på lægemidlets sikkerhed på voksne og går derefter videre til at fastsætte, om lægemidlet virker ("bevis for effekt"), før der påbegyndes større verifikationsforsøg, som er designet til at skaffe oplysninger om både sikkerhed og virkning. På et tidspunkt i løbet af de kliniske undersøgelser skal den pædiatriske udvikling af lægemidlet gennemgås og muligvis påbegyndes.

Det faktiske tidspunkt, denne diskussion skal finde sted på, afhænger af det individuelle projekt. Det skal dog altid være tidligt eller i løbet af udviklingssamtalerne for at sikre, at der er tid nok til de forskellige aktiviteter, bl.a. udvikling af nye formuleringer samt relevante non-kliniske og kliniske forsøg. Det rigtige tidspunkt til at inkludere udvikling af lægemidler til børn afhænger ofte af sygdommen og det uopfyldte behov samt af, hvorvidt lægemidlet er nyt eller en

del af en gruppe lægemidler, hvor virkningsmekanismen allerede forstås fuldt ud. Tidspunktet afhænger også af kravene fra reguleringsmyndigheder – det er f.eks. normalt tidligere i EU end i USA. Aftaler mellem EU og USA kan også variere.

Lovgivning om udvikling af pædiatriske lægemidler

I EU er en enkelt lov gældende for udviklingen af pædiatriske lægemidler og godkendelsen af lægemidler til pædiatrisk brug.[1] Denne lov kræver, at børn skal inkluderes tidligere i udviklingen af lægemidler: den kræver, at der skal indsendes en pædiatrisk undersøgelsesplan, når de første undersøgelser på mennesker er udført, og forståelsen af lægemidlets effekt endnu er på et tidligt stadie. Lovgivningen indeholder også incitamenter til dem, der overholder dette krav og indsender deres pædiatriske undersøgelsesplaner rettidigt.

Ideelt set – og især, når et lægemiddel har potentiale til at blive brugt både på voksne og pædiatriske populationer – bestræber sponsoren sig på at have en næsten parallel pædiatrisk udvikling fra det tidspunkt, hvor der påbegyndes kliniske undersøgelser med lægemidlet på voksne mennesker. Det betyder, at lægemidlet vil være klar til børn på samme tidspunkt, som det er klar til voksne på – eller kort efter. Selvom diskussionen foregår sideløbende, kan resultatet blive forskudte voksne og pædiatriske udviklingsplaner.

Referencer

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