

Pediatrie (kindergeneeskunde): uitdagingen van vroege ontwikkeling

Inleiding

De ontwikkeling van geneesmiddelen voor kinderen vormt zowel een wetenschappelijke als regelgevende uitdaging. Onderzoekers moeten het juiste moment bepalen om een nieuw kandidaatgeneesmiddel bij kinderen te introduceren, een beslissing die zorgvuldig overleg en planning vereist.

Wanneer moet met de ontwikkeling van een geneesmiddel voor kinderen worden begonnen?

Voordat een nieuw geneesmiddel bij mensen wordt onderzocht, is er al aanzienlijk onderzoek naar verricht, waaronder bij dieren. Vroege onderzoeken bij de mens richten zich op de veiligheid van het geneesmiddel bij volwassenen, waarna wordt bepaald of het geneesmiddel werkt ('proof of concept'). Deze fase wordt gevolgd door grootschaliger bevestigingsonderzoeken, ontworpen om informatie te verkrijgen over de veiligheid en werkzaamheid. Tijdens de klinische onderzoeken moet op een bepaald moment de ontwikkeling van het geneesmiddel voor pediatrisch gebruik worden besproken en, zo mogelijk, gestart.

De feitelijke timing van het overleg verschilt per project, maar dergelijke discussies moeten altijd vroeg in het

ontwikkelingsproces worden gevoerd zodat er voldoende tijd is voor diverse activiteiten zoals de ontwikkeling van nieuwe formuleringen en correct opgezette niet-klinische en klinische onderzoeken. Het juiste moment om de ontwikkeling van geneesmiddelen voor kinderen in het proces op te nemen hangt vaak af van de ziekte en de urgentie, en of het geneesmiddel nieuw is of deel uitmaakt van een groep geneesmiddelen met een goed begrepen werkingsmechanisme. De timing hangt ook af van de eisen van de regelgevende instanties – in de EU is dit bijvoorbeeld vaak eerder dan in de VS. Ook kunnen de afspraken tussen de EU en de VS variëren.

Wetgeving inzake de ontwikkeling van geneesmiddelen voor pediatrisch gebruik

In de EU is dezelfde wetgeving van kracht voor zowel de ontwikkeling als de goedkeuring van geneesmiddelen voor pediatrisch gebruik.¹ Volgens deze wet moeten kinderen eerder in het proces van geneesmiddelenontwikkeling worden opgenomen en moet er verplicht een pediatrisch onderzoeksplan ('Paediatric Investigation Plan', PIP) worden ingediend zodra de eerste onderzoeken bij mensen zijn afgerond, wanneer er meer bekend wordt over het effect van het geneesmiddel. In de wetgeving zijn ook prikkels opgenomen voor degenen die voldoen aan deze eis en hun PIP's op tijd indienen.

In het ideale geval, en in het bijzonder wanneer een geneesmiddel bij zowel volwassenen als kinderen kan worden gebruikt, streeft de sponsor ernaar min of meer parallel aan het opstarten van klinische onderzoeken bij volwassenen ook te beginnen met de pediatrische ontwikkeling. Dit zou inhouden dat het geneesmiddel nadat het beschikbaar is gekomen voor volwassenen, tegelijk of kort erna ook beschikbaar komt voor kinderen. Hoewel de beoordeling parallel verloopt, kan de uitkomst de ontwikkelingsplannen voor volwassenen en kinderen ophouden.

Referenties

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