Sviluppo di farmaci per i bambini: panoramica

Introduzione

Negli anni '60 del XX secolo l'efficacia dei farmaci veniva verificata sugli adulti ma non sui bambini. Gli operatori sanitari non avevano alternative: dovevano utilizzare "off label" (al di fuori delle indicazioni del foglietto illustrativo) nei bambini farmaci autorizzati per gli adulti con i rischi connessi di mancata efficacia o reazioni indesiderate.

Le società farmaceutiche non conducevano ordinariamente la ricerca e lo sviluppo necessari per adattare i farmaci alle esigenze della popolazione pediatrica.

Oggi nell'Unione Europea oltre la metà dei farmaci usati per curare i bambini è utilizzata "off label", cioè questi farmaci non sono mai stati veramente studiati su questa popolazione e non vengono sempre impiegati per curare le stesse malattie nei bambini e negli adulti.

Come affrontare le lacune dei farmaci pediatrici

In risposta all'assenza di farmaci autorizzati sufficientemente adatti al trattamento delle malattie nei bambini, nell'Unione Europea e negli Stati Uniti sono state redatte linee guida per:

- Incoraggiare e facilitare lo sviluppo tempestivo di farmaci pediatrici
- Assicurare che i farmaci usati siano sottoposti a

- ricerca e sviluppo appropriati ed etici
- Assicurare che un farmaco sia correttamente autorizzato per l'uso nella popolazione pediatrica
 - Migliorare le informazioni disponibili sull'uso dei farmaci nei bambini
 - Cercare di ridurre l'utilizzo "off label"

All'inizio del processo di sviluppo di un farmaco, lo sponsor dovrebbe prendere in esame molte questioni per valutare l'opportunità di sviluppare un farmaco nella popolazione pediatrica. Spesso il momento adatto per includere lo sviluppo di farmaci per i bambini dipende dalla malattia e dalla presenza di esigenze non soddisfatte. Dipende anche dal fatto che il farmaco sia nuovo o appartenga a un gruppo di farmaci con un meccanismo già ben noto.

Dato che i bambini sono un sottogruppo vulnerabile di popolazione, lo sviluppo di farmaci per i bambini richiede misure speciali per difendere questi piccoli pazienti da rischi inutili. L'ottimizzazione del disegno dello studio clinico e questioni etiche presenti negli studi pediatrici rappresentano solo una parte di ciò che è necessario considerare. Formulazioni specifiche per età sono essenziali per risolvere problemi come la difficoltà di deglutire le compresse quando non è disponibile uno sciroppo. Inoltre possono essere necessari aromi, coloranti e agenti di mascheramento del gusto alternativi.

A norma della legislazione vigente nell'Unione Europea e negli Stati Uniti, non è più possibile sviluppare un farmaco senza considerare la popolazione pediatrica e quindi lo sviluppo pediatrico del farmaco viene allineato maggiormente a quello degli adulti. Questo cambiamento ha portato a un aumento dello sviluppo di farmaci per la popolazione pediatrica e oggi si stanno iniziando a sviluppare più farmaci per i bambini.