

Tytuł: Międzynarodowe regulacje w badaniach klinicznych w pediatrii / International regulations in pediatric clinical trials

Słowa kluczowe: regulacje Europejska Sieć Badań w Pediatrii Komitet Pediatriczny badania kliniczne Rozporządzenie Pediatriczne

Keywords: regulations European Paediatric Research Network Paediatric Regulation Paediatric Committee pediatric clinical studies

Autorzy:

Antoni J. Drzejowski - <p>Grupa ds. badań klinicznych w populacji pediatrycznej, Stowarzyszenie na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych w Polsce (www.gcpl.org.pl)</p>

Streszczenie:

Wprowadzenie. Stosowanie leków niezarejestrowanych do użyciu w populacji pediatrycznej (off-label use) jest związane ze zwiększonym występowaniem oraz nasileniem stopnia ciężkości niepożądanych reakcji na leki. W dokumentach American Academy of Pediatrics wskazano, że nieetyczne jest ograniczanie dzieciom dostępu do istniejących i nowych środków farmakologicznych oraz że jest zbiorową odpowiedzialnością: pediatrów, przemysłu farmaceutycznego i agencji rządowych przeprowadzanie odpowiednich badań, a społeczeństwo powinno wspierać takie badania. Zalecenia te sprawiły, że w ostatnim dwudziestoleciu doszło do powstania nowych regulacji mających na celu promowanie badań klinicznych leków dla dzieci. Cel pracy. Celem pracy było przedstawienie przeglądu międzynarodowych regulacji prawnych dotyczących badań klinicznych leków dla dzieci, ze szczególnym uwzględnieniem prawodawstwa obowiązującego w Unii Europejskiej. Omówienie. Pierwsze regulacje stymulujące badania kliniczne leków dla dzieci przyjęto w Stanach Zjednoczonych już w latach 90. ubiegłego wieku. Władzami, w Europie przyjęto Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady 1901/2006 (tzw. Regulacja Pediatriczna), które w pełni obowiązuje na terenie EU od stycznia 2009 roku. Kluczowe elementy Regulacji Pediatricznej to nałożenie na firmy farmaceutyczne obowiązku przygotowania i zrealizowania tzw. planu badań klinicznych z udziałem populacji pediatrycznej (PIP – Paediatric Investigational Plan), powołanie Komitetu Pediatricznego (PDCO – Paediatric Committee) oraz Europejskiej Sieci Badań w Pediatrii (EnPrEMA – European Paediatric Research Network). Podsumowanie. W ostatnich latach przyjęto szereg międzynarodowych rozwiązań prawnych mających na celu promowanie badań klinicznych leków dla dzieci poprzez wprowadzenie zarówno odpowiednich wymagań formalnych, jak i systemu zachęt dla firm farmaceutycznych rozwijających badania nad lekami stosowanymi we wskazaniach pediatrycznych. Na pozytywne, długofalowe efekty Regulacji Pediatricznej należy jeszcze poczekać, ale konieczne jest monitorowanie skuteczności tych rozwiązań i sposobów ich realizacji przez przemysł farmaceutyczny i odpowiednie urzędy centralne. Należy również wspierać dalszy rozwój zarówno Europejskiej Sieci Badań w Pediatrii, jak i sieci krajowych, co wymaga aktywnego uczestnictwa w tym procesie środowisk pediatrycznych.

Abstract:

Background. Utilization of unregistered medicinal products in pediatric population (off-label drug use) is related with increased incidence and severity of the adverse drug reactions. It was indicated in the guidelines published by American Academy of Pediatrics that it is unethical to limit children's access to the existing and new medicinal products and that it is shared responsibility of pediatricians, pharmaceutical industry and regulatory authorities to conduct relevant studies which also should be supported by the general public. Following these recommendations, during past two decades several new law regulations were developed to promote clinical studies in pediatric population. Aim of the study. The aim of the study was to present the review of international law regulations pertaining conducting clinical studies in children, with special consideration of European Union regulations. Discussion. The first regulations promoting

clinical studies in children were published in the United States in the 90-ies of the past century. They were followed by the Regulation (EC) No 1901/2006 (as called as Paediatric Regulation) which is fully implemented since Jan 2009. The key elements of Paediatric Regulation include obligation of pharma companies to develop and implement Paediatric Investigational Plans (PIP), setting up Paediatric Committee (PDCO) and European Paediatric Research Network (EnprEMA) Conclusions. During past years several international law regulations have been implemented to promote clinical studies of medical products for children by defining both formal requirements and system of incentives for pharma companies investigating pediatric products. Waiting for positive long term effects of Paediatric Regulations it is necessary to monitor the efficacy of the new procedures and the way they are followed by the pharmaceutical industry and competent authorities. Further development of European Paediatric Research Network (EnprEMA) and local pediatric networks should be supported by active participation of pediatric environment.