

Paweł Januszewicz

Leki dla dzieci – przełom w prawie europejskim

Z Instytutu Pielęgniarstwa i Położnictwa
Wydziału Nauk o Zdrowiu, Uniwersytetu Rzeszowskiego
Z Pracowni ds. Farmakoterapii Pediatricznej
Zakładu Farmakologii Narodowego Instytutu Zdrowia Publicznego

W pracy przedstawiono aktualny stan wiedzy na temat planowanych zmian w prawie europejskim, dotyczących produktów leczniczych przeznaczonych do stosowania u dzieci i młodzieży. Nowe rozporządzenie, wchodzące w życie pod koniec 2006 r., zmienia całkowicie dotychczasowe praktyki stosowania leków bez zarejestrowanych wskazań pediatrycznych i wymusza nowe działania przemysłu farmaceutycznego, otwierając równocześnie nowe perspektywy w badaniach klinicznych u dzieci i młodzieży.

Słowa kluczowe: produkty lecznicze w pediatrii, badania kliniczne, przemysł farmaceutyczny

Drugs for children - a turning point in European law

New EU proposals on medicines for children, becoming effective end of 2006 are presented in this paper. This will create a new situation for pediatric patients, doctors and pharmaceutical industry, since nearly 50% of medicines registered in Europe are currently used "off-label" when prescribed for children aged 0–18.

Key words: medicines for children, pharmaceutical industry, drug trials

Ponad 50% produktów leczniczych, dostępnych na rynku Unii Europejskiej, nie zostało przebadanych pod kątem bezpieczeństwa, jakości i skuteczności stosowania u dzieci i młodzieży oraz nie ma zatwierdzonych wskazań do stosowania w populacji 0 – 16 r.ż.; w Unii Europejskiej problem ten dotyczy ok. 100 mln, czyli blisko 20% populacji (w Polsce ok. 11 mln). Przyczyny tej bardzo niekorzystnej dla małych pacjentów sytuacji należy upatrywać w niechęci koncernów farmaceutycznych do inwestowania w badania, prowadzone na niewielkich grupach, cierpiących na specyficzne schorzenia oraz problemach ze znaczną złożonością takich badań – „dzieci” nie są populacją jednorodną (od wcześniaka do nastolatka). Praktycznie we wszystkich dziedzinach pediatrii brakuje produktów leczniczych właściwie przebadanych i zatwierdzonych do odpowiedniego stosowania – największe braki istnieją m.in. w zakresie leczenia chorób zakaźnych, chorób serca i naczyń, astmy, cukrzycy, gastroenterologii, neu-

rologii i psychiatrii, okulistyce czy dermatologii. W konsekwencji większość lekarzy zmuszona jest stosować leki „off-label” – czyli bez zarejestrowanych wskazań pediatrycznych, oraz bez informacji opartej na wiarygodnych badaniach klinicznych i bez dostępu do danych na temat oceny „korzyść vs ryzyko”. Prowadzić to może do poważnych błędów w dawkowaniu, niemożności przewidywania działań niepożądanych lub wręcz do braku dostępu do leków innowacyjnych.

DZIAŁANIA UNII EUROPEJSKIEJ

Komisja Europejska 29 września 2004 skierowała do Parlamentu Europejskiego projekt regulacji prawnych – Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii oraz zmieniające rozporządzenie (EWG) Nr 1768/92, dyrektywę 2001/83/WE i rozporządzenie (WE) Nr 726/2004, kompleksowo zmieniających proces dopuszczania do obrotu produktów leczniczych stosowanych u

dzieci i młodzieży. Myślą przewodnią tych regulacji jest zrównanie wymagań dotyczących zakresu badań naukowych i samego procesu rejestracji dla leków stosowanych u dorosłych jak i u dzieci i młodzieży. Wejście w życie nowych przepisów planowane jest na koniec 2006 r.

NOWE WYMAGANIA

Nowe regulacje przewidują:
(dla leków nowych)

- Przedstawienie w momencie rozpoczęcia procesu uzyskania zezwolenia na dopuszczenie do obrotu (dotyczy też „line extension”) kompletu danych dotyczących stosowania tego leku u dzieci; muszą one pochodzić ze specjalnie zatwierdzonego planu badań pediatrycznych (Pediatric Investigation Plan – PIP)
- Stworzenie systemu zwolnień dla leków, które nie będą używane u dzieci
- Stworzenie systemu odroczeń dla uzyskiwania danych pediatrycznych, które zapewnią pełne bezpieczeństwo pacjentowi, a równocześnie nie będą przyczyną opóźnień dla procesu rejestracji leku dla dorosłych
- Specjalne zalecenia dla leków sierocych (orphan drugs) (dla leków już istniejących na rynku)
- Stworzenie nowego typu zezwolenia na dopuszczenie do obrotu – PUMA – Paediatric Use Marketing Authorisation, który zapewnia dziesięcioletni okres ochrony patentowej dla wyników nowych badań innowacyjnych dla

produktów aktualnie pozbawionych ochrony patentowej

- Utworzenie specjalnego programu badań klinicznych u dzieci w obrębie UE : MICE – Medicines Investigation for the Children of Europe (dla leków nowych i starych)
- Utworzenie w obrębie europejskiej agencji EMEA Komitetu Pediatrycznego, złożonego z ekspertów chorób dziecięcych
- Wzmocnienie monitorowania bezpieczeństwa produktów stosowanych w pediatrii
- Wymóg dostarczania przez przemysł farmaceutyczny wszelkich danych dotyczących już uzyskanych wyników badań leków u dzieci
- Utworzenie baz danych o prowadzonych badaniach, sieci ośrodków badawczych oraz spisu niezbędnych potrzeb terapeutycznych dla populacji pediatrycznej.

PIŚMIENNICTWO

1. www.fda.gov/cder/pediatric/summaryreview.htm
2. www.emea.eu.int/
3. www.ich.org/
4. www.heads.medagencies.org/

Paweł Januszewicz
Wydział Nauk o Zdrowiu
Instytut Pielęgniarstwa i Położnictwa
ul. Warzywna 1
35-955 Rzeszów
tel. 017 872 13 89
ins_piel@univ.rzeszow.pl