

Børn på lægemiddeludviklingens landkort

Dansk Selskab for Klinisk Farmakologi

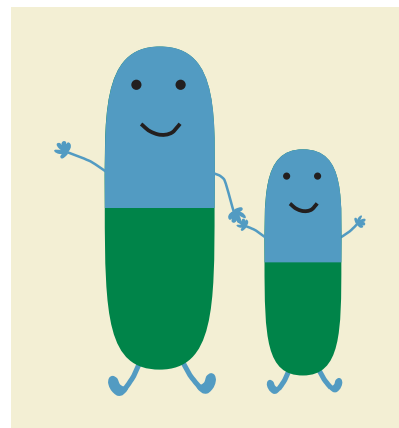
Overlæge Steffen Thirstrup & læge Jens Heisterberg

Behandling af børn med lægemidler har oftest været baseret på ekstrapolation af kliniske undersøgelser/kliniske erfaringer gjort i voksenpopulationen. At foretage lægemiddelforsøg med børn har været betragtet som uetisk, unødvendigt, dyrt og/eller besværligt. Dette har medført, at behandlingen i vid udstrækning bygger på manglende eller tvivlsom evidens. Anvendelsen af lægemidler til børn foregår derfor ofte på ikkegodkendte indikationer eller på en måde, der ikke er omfattet af anbefalingerne i produktresumet [1].

At børn er andet end små voksne synes ellers at have været erkendt af alle siden oplysningstiden, men åbenbart ikke af lægemiddeludviklerne (her bredt defineret som lægemiddelindustri, lægemiddelmyndigheder og lægemiddelforskere i universitetsverdenen/på hospitalerne). Der er selvfølgelig en lang række positive undtagelser, men generelt har udvikling af lægemidler til børn været stedmoderligt behandlet. Det skal være slut nu.

2007 blev året, hvor man i EU-regi indførte nye regler for udvikling af lægemidler til børn [2]. Reglerne kan bedst beskrives som lige dele pisk og gulerod (i EU-forordningen kaldet forpligtelser og belønninger). Piskens består i, at lægemiddelindustrien på tidspunktet for ansøgning om markedsføringsstilladelse for et nyt lægemiddel nu i mange tilfælde er forpligtet til at præsentere en såkaldt pædiatrisk udviklingsplan (PIP), som skal forhåndsgodkendes af Det Pædiatriske Udvalg under Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA). PIP'en kan afhængigt af lægemidlet og dets indikation omfatte såvel fase II- som fase III-undersøgelser og f.eks. farmakokinetiske undersøgelser. Der er undtagelser. Ved lægemidler, som med stor sandsynlighed ikke er til gavn for børn (f.eks. lægemidler mod Alzheimers sygdom), kan der gives dispensation.

Guleroden er først og fremmest en seks måneders ekstra databeskyttelse, der vil sikre lægemiddelvirksomheden mod generisk konkurrence i den tid. Den ekstra databeskyttelse gives også, selv om det pædiatriske udviklingsprogram ikke fører til godkendelse af en indikation, f.eks. fordi lægemidlet ikke viste sig at være effektivt til behandling af den pågældende sygdom hos børn. Der er også mulighed for ekstra databeskyttelse for lægemidler til sjældne sygdomme hos børn, og når der er pædiatriske indikationer for lægemidler uden patent. Lignende regler har gennem nogle år eksisteret i USA. Derudover har man i EU forpligtet sig til flere støtteforanstalt-



ninger (såkaldte incitament) mhp. indsamling af viden om lægemidler og børn, også den som foregår uden lægemiddelindustrien som sponsor.

Der er masser af emner at tage fat på for klinisk farmakologi. I flæng kan nævnes farmakokinetiske/farmakodynamiske forhold hos børn, ekstrapolation fra voksne, alternative administrationsmåder og lægemiddelformer til børn, etiske aspekter, pædiatriske lægemiddelbivirkninger, kompliance hos børn, lægemidlers effekt på vækst og psykosocial udvikling.

Forhåbentlig kan de nye initiativer og den øgede fokus lede til en stimuleret interesse hos danske kliniske farmakologer – i samarbejde med de kliniske børnespecialer (pædiatri og børnepsykiatri) – for evidensbaseret anvendelse af lægemidler til børn. Alt sammen til glæde og gavn for fremtidens syge børn.

Korrespondance: *Steffen Thirstrup*, Godkendelsesafdelingen, Lægemiddelstyrelsen, DK-2300 København S. E-mail: sth@dkma.dk

Interessekonflikter: *Jens Heisterberg* er fuldtidsansat i lægemiddelvirksomheden H. Lundbeck A/S.

Litteratur

1. Conroy S, Choonara I, Impicciatore P et al. Survey of unlicensed and off label drug in paediatric wards in European countries. *BMJ* 2000;320:79-82.
2. EU's forordning af 12. december 2006 om lægemidler til pædiatrisk brug. Dansk udgave forefindes på: ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/eudralex/vol-1/reg_2006_1901/reg_2006_1901_da.pdf.