

Kalle HoppuProfessori, lastentautien ja kliinisen farmakologian erikoislääkäri
HUS Lasten ja nuorten sairaudet**Pirkko Lepola**FM (biotekniikka), SH AMK
Opettaja, AOKK

Suomi mukana kansainvälisessä lastenlääketutkimuksessa

EU:n lastenlääkeasetus on luonut edellytyksiä sille, että lastenlääkevalikoima voi vastata paremmin lasten todellisia tarpeita. Tarvitsemme jatkossa kuitenkin enemmän lastenlääketutkimuksia.

Ilman eri toimijoiden yhteistyötä ja toimivaa lastenlääketutkimusinfrastruktuuria se ei ole mahdollista.

EU:n lastenlääkeasetus (1901/2006) tuli voimaan vuonna 2007. Asetuksen tarkoituksena on parantaa Euroopan lasten terveyttä lisäämällä laadukasta lastenlääketutkimusta, edistämällä lapsille tarkoitettujen lääkkeiden kehittämistä ja saatavuutta, sekä lisäämällä tietoa lääkkeiden käytöstä lapsiväestössä.

Euroopan komission lastenlääkeasetuksen kymmenvuotisraportti kertoo, että lastenlääketutkimusten kokonaismäärä EU:ssa ei ole silti kasvanut kymmenessä vuodessa (kuvio 1A). Niiden osuus kaikista lääketutkimuksista on kuitenkin noussut johtuen muiden tutkimusten määrän

vähentymisestä (kuvio 1B). EU:n tutkimusrekisteristä peräisin olevien lukujen tulkinta on kuitenkin hankalaa, koska rekisterissä lastenlääketutkimuksiksi luetaan kaikki, joissa on mukana vähintään yksi alle 18-vuotias lapsi. Noin 60 % niistä on tutkimuksia, joissa on mukana vain lapsia (alle 18-v.).

Suomen osuus kaikista lastenlääketutkimuksista EU:ssa on noin 5 %, mikä on selvästi suurempi kuin Suomen lapsiväestön osuus ikäryhmästään EU:ssa. Suomessakin lääketutkimuksia toteutetaan entistä vähemmän. Lastenlääketutkimusten lukumäärä ja myös osuus ovat vertailuaikana jonkin verran laskeneet, etenkin jakson

viimeisten vuosien aikana (kuvio 1B). Luvuissa on epävarmuutta, mutta näyttää siltä, että erityisesti teollisuuden sponsorimat lastenlääketutkimukset ovat vähentyneet.

FINPEDMED – Suomen kansallinen lastenlääkkeiden tutkimusverkosto

Lastenlääkeasetuksen myötä Euroopassa perustettiin lastenlääketutkimusverkostoja kapasiteetin lisäämiseksi. Suomen kansallinen lastenlääkkeiden tutkimusverkosto (FINPEDMED) perustettiin vuonna 2007. Verkosto aloitti toiminnan pienellä budjetilla HYKS-Instituutti

Oy:n, kaikkien viiden yliopistosairaalan ja Lastentautien tutkimussäätiön rahoittamana. FINPEDMED on sittemmin vakiinnuttanut asemansa Euroopan lääkeviraston koordinoiman verkoston Enpr-EMAn kaikki kriteerit täyttävänä jäsenenä (2010).

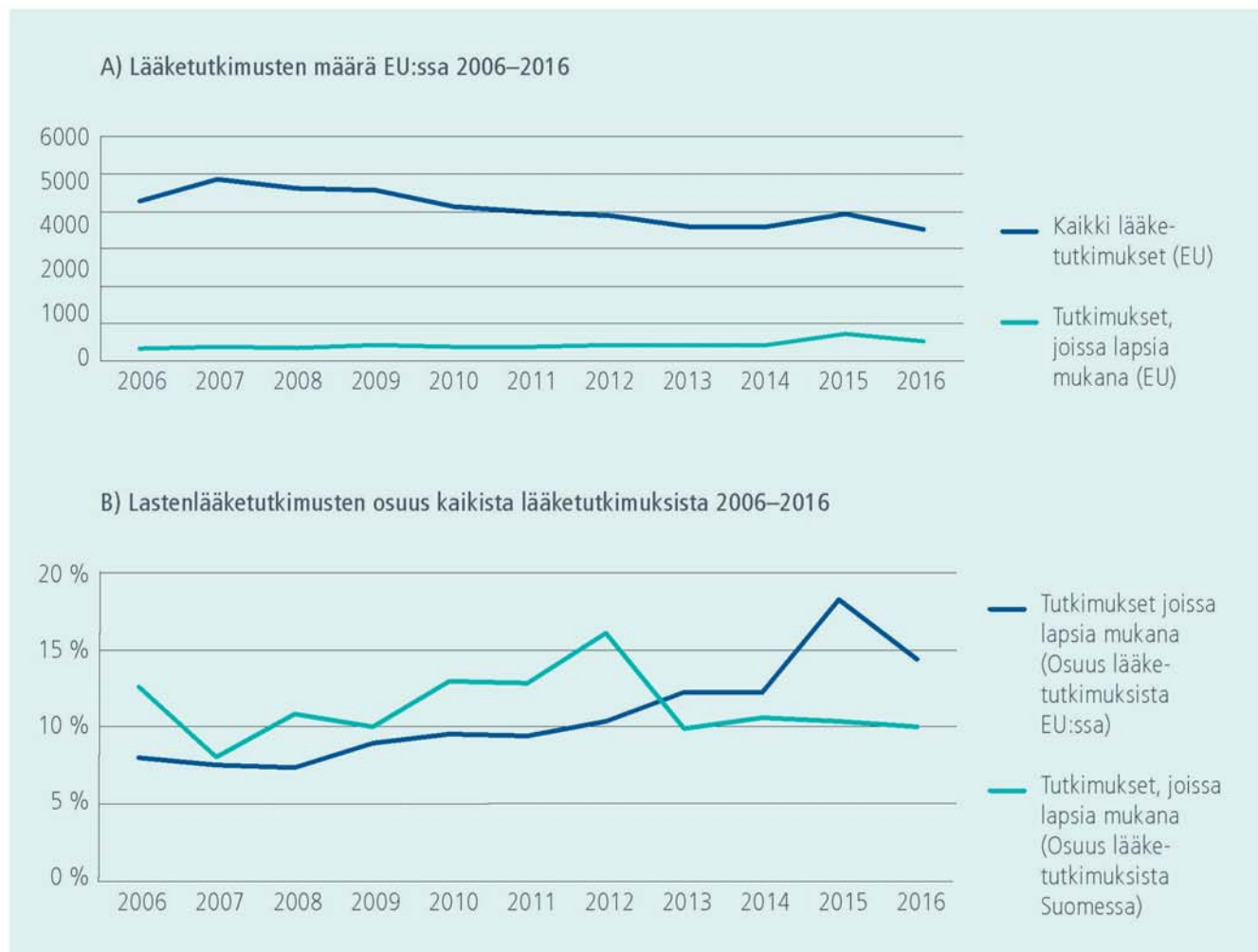
Vuonna 2017 FINPEDMEDin toiminta vakiintui, kun HUS, HYKS Lasten ja Nuorten sairauksien toimialasta tuli verkoston laillinen isäntä. Verkoston jäsenenä on tällä hetkellä 175 kokenutta tutkijalääkärää sekä muuta lastenlääkekehityksen ja -tutkimuksen asiantuntijaa koko Suomesta. FINPEDMED on onnistunut erityisesti

kehittämään tutkimustarjousten vastaanottoa ja laaja-alaista asiantuntijatoimintaa (taulukko 1). Korkealaatuisen infrastruktuurin esteinä ovat kuitenkin olleet resurssien niukkuus, koulutetun avustavan henkilökunnan puute ja tutkijoiden vaikeudet irrottautua päätyöstään tutkimustyöhön.

Eurooppalaisen lastenlääkeinfrastruktuurin luominen

EU:n tutkimusrahoitusjärjestelmään kuuluva IMI2 (Innovative Medicines Initiative 2) julkisti vuoden 2016

Kuvio 1. Lastenlääketutkimusten määrä ja osuus EU:ssa ja Suomessa vuosina 2006–2016 (tutkimukset, joissa lapsi mukana = tutkimukset, joissa vähintään yksi alle 18-v. lapsi mukana). Lähde: Eudra CT-tietokanta.



Taulukko 1. Esimerkkejä FINPEDMEDin toiminnasta vuosina 2007–2018.

<ul style="list-style-type: none">• 157 palvelupyynnöä (uusia lastenlääketutkimustarjouksia)
<ul style="list-style-type: none">• 52 asiantuntijakonsultaatiota (tutkimussuunnitelmat, lääkekehitys)
<ul style="list-style-type: none">• noin puolet kaikista Suomessa toteutetuista teollisuuden lastenlääketutkimuksista (terveiden lasten rokotetutkimukset pois lukien) on tehty FINPEDMEDin kautta.
<ul style="list-style-type: none">• ohjeita ja ohjetaulukko lastenlääketutkimusten suostumusten suunnitteluun ja suostumusprosessiin (yhteistyössä viranomaisten, asiantuntijoiden ja teollisuuden kanssa)
<ul style="list-style-type: none">• edellisiin liittyvät ohjeistavat suostumusmallit lasten lääketutkimuksiin kaikille ikäryhmille (suomeksi, ruotsiksi ja englanniksi) ja laillisille huoltajille
<ul style="list-style-type: none">• kuvakortit lasten klinisiin tutkimuksiin ja klinisen työn tueksi
<ul style="list-style-type: none">• tutkimushoitajien räätälöity pätevyyskoulutus (4OP; TAYS, TYKS ja HUS)
<ul style="list-style-type: none">• ammattihenkilöstön täydennyskoulutus (esim. Lasten Lääkehoidon Päivät 2014, 2016 ja 2018)
<ul style="list-style-type: none">• FINPEDMED verkkosivusto (http://www.finpedmed.fi)

lopulla haun eurooppalaisen lastenlääketutkimusinfrastruktuurin luomiseksi. Haun voitti tutkijoiden ja teollisuuden yhteenliittymä connect4children (c4c). C4c-projekti antaa resursseja korkealaatuisen infrastruktuurin pystyttämiseksi, jolloin se voi tuoda uudet innovatiiviset lääkkeet tutkitusti ja nopeasti lapsiväestön käyttöön.

C4c käynnistyi toukokuussa 2018. Siinä on 40 jäsentä, kymmenen suurta lääkeyritystä, 18 kansallista lastenlääketutkimusverkostoa, kahdeksan EU:n monikansallista erikoisalakohotaista verkostoa, kaksi suurta potilasjärjestöä ja kaksi suurta lastensairaala.

Tärkeimpänä tavoitteena on pystyttää laaja eurooppalainen, lastenlääkkeiden tutkimukseen keskittynyt tutkimusverkosto ja pysyvä infrastruktuuri. Verkoston toimivuus osoitetaan toteuttamalla sekä lääketeollisuuden sponsoroimia että tutkijalähtöisiä monikeskustutkimuksia. Suomesta verkoston jäsenenä on HUS,

Suomen vahvuuksiin lastenlääketutkimusympäristönä kuuluvat väestön korkea koulutustaso ja siihen liittyvä ymmärrys tutkimuksen tarpeesta, hyvä sitoutuminen tutkimukseen sekä terveydenhuollon korkea taso.

joka toimii kansallisena keskuksena. Muut yliopistosairaalat voivat liittyä kansalliseen verkostoon jäsenenä. C4c-hankkeen kokonaisrahoitus on 140 miljoonaa euroa ja toimiaika kuusi vuotta.

Asenneilmaston muutos luo edellytyksiä parempaan

Suomen vahvuuksiin lastenlääketutkimusympäristönä kuuluvat väestön korkea koulutustaso ja siihen liittyvä

ymmärrys tutkimuksen tarpeesta, hyvä sitoutuminen tutkimukseen, sekä terveydenhuollon korkea taso. Esimerkiksi rokotetutkimuksiin Suomi soveltuu hyvin, ja suomalaiset lasten rokotetutkimukset edustavatkin maailman huippua. Suomen rajallinen, ja yleisesti varsin terve lapsiväestö luo kuitenkin haasteita tutkimuspotilaiden rekrytointiin kilpailussa kansainvälisistä tutkimuksista.

Terveydenhuollon organisaatioissa, myös Suomessa, on lääketutkimusten toteuttamista pikemminkin siedetty kuin tuettu. Maailma kuitenkin muuttuu ja kansainväliset vaatimukset huippusairaaloille edellyttävät nykyisin, että sairaalan on osallistuttava merkittäväällä panoksella entistä parempien hoitojen kehittämiseen potilailleen. Yhtenä mittarina pidetään klinisiin lääketutkimuksiin osallistuvien potilaiden osuutta sairaalassa. Muutos on onneksi jo nähtävissä Suomessakin. ●

KIRJALLISUUTTA

- 10-year Report to the European Commission. General report on the experience acquired as a result of the application of the Paediatric Regulation. European Medicines Agency 2017. www.ec.europa.eu
- Hoppu K. Kymmenen vuotta EU:n lastenlääkeasetusta – mitä on tapahtunut, mitä ei? Duodecim 2017; 133(19): 1817–9.
- Hoppu K, Pakkala S. Lastenlääketutkimuksen avaimet yliopistosairaaloilla. Suom Lääkäril. 2010; 65(47): 3858.
- Korppi M, ym. Limited impact of EU paediatric regulation on Finnish clinical trials highlights need for Nordic collaboration. Acta Paediatr 2013; 102(11): 1035–40.

