

<https://helda.helsinki.fi>

Lastenlääketutkimus etenee - pidetään Suomi mukana

Kallio, Jaana

2019

Kallio , J 2019 , ' Lastenlääketutkimus etenee - pidetään Suomi mukana ' , Suomen lääkärilehti , Vuosikerta. 74 , Nro 6 , Sivut 289 . <
<https://www.laakarilehti.fi/pdf/2019/SLL62019-289.pdf> >

<http://hdl.handle.net/10138/313752>

publishedVersion

Downloaded from Helda, University of Helsinki institutional repository.

This is an electronic reprint of the original article.

This reprint may differ from the original in pagination and typographic detail.

Please cite the original version.

**JAANA KALLIO**

LT, lastentautien ja kliinisen farmakologian erikoislääkäri farmakologian dosentti, lasten kliinisistä lääketutkimuksista vastaava lääkäri
HUS, Lasten ja nuorten sairaudet lääketieteellinen asiantuntija
FINPEDMED

KIRJALLISUUTTA

- Hoppu K. Globaali näkökulma lastenlääkeongelmaan. *Duodecim* 2017;133:1849–55.
- EC. Ethical considerations for clinical trials on medicinal products conducted with minors. Recommendations of the expert group on clinical trials for the implementation of Regulation (EU) No 536/2014 on clinical trials on medicinal products for human use. https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/eudralex/vol-10/2017_09_18_ethical_considerations_with_minors.pdf
- Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 1901/2006 lastenlääkkeistä sekä asetusten (ETY) N:o 1768/92, direktiivin 2001/20/EY, direktiivin 2001/83/EY ja asetuksen (EY) N:o 726/2004 muuttamisesta. EU:n virallinen lehti 2006; 49(L378):1–19.
- EMA. 10-year Report to the European Commission. General report on the experience acquired as a result of the application of the Paediatric Regulation. https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/paediatrics/docs/paediatrics_10_years_ema_technical_report.pdf
- Bellis JR, Kirkham, J, Thiesen S ym. Adverse drug reactions and off-label and unlicensed medicines in children: a nested case-control study of inpatients in a pediatric hospital. *BMC Med* 2013;11:238. doi: 10.1186/1741-7015-11-238
- Conect4children kotisivut (haettu 18.11.2018). www.conect4children.org

SIDONNAISUUDET

Jaana Kallio: Ei sidonnaisuuksia.

Lastenlääketutkimus etenee – pidetään Suomi mukana

Nykyaikainen lääkekehitys ei ole hyödyttänyt lapsia yhtä paljon kuin aikuisia, koska uudet lääkkeet on yleensä tutkittu vain aikuisilla. Voidaan edelleen puhua lastenlääkeongelmasta, joka on vuosikymmenten saatossa pahentunut (1). Tämä johtuu siitä, että lastenlääketutkimuksiin liittyy paljon erityisvaatimuksia.

Äänmukaisten tehokkaiden ja turvallisten aineiden rekisteröimiseksi lääkkeet tulisi tutkia luotettavasti kaikissa ikäryhmissä, koska lapsen kehitysvaiheet vaikuttavat merkittävästi lääkkeiden farmakokinetiikkaan ja -dynamiikkaan. Lääkemuodot täytyy formuloida lapsille sopiviksi, ja laboratoriomenetelmät ja tulosmuuttajat on validoitava lapsitutkimuksia varten. Suuri osa lasten sairauksista on harvinaisia, joten lapsipotilaita on vaikeaa kerryttää tutkimuksiin. Myös tietoisien suostumuksen saamiseen vaaditaan erityisjärjestelyjä. Lapsia tulee toisaalta suojella turhilta tutkimuksilta, joten lastenlääketutkimusohjelmille on asetettava tiukat eettiset vaatimukset (2).

EU:ssa ongelmaan on puututtu säätämällä lääketieteellisuutta velvoittava ja toisaalta kannustava lainsäädäntö, lastenlääkeasetus, vuonna 2007 (3). Uusia käyttöaiheita lasten hoidossa ei ole kuitenkaan saatu hyväksytyä odotettuun tahtiin, sillä Euroopan lääkeviraston lastenlääkekomitean arvioimista ja hyväksymistä yli tuhannesta tutkimussuunnitelmasta (paediatric investigation plan, PIP) on valmistunut vain noin 12 % (4). Käytäntö onkin osoittanut, että lääketieteellisyydellä ei ole mahdollisuutta toteuttaa suunnitelmia, koska Euroopassa ei ole riittävästi osaamista ja kapasiteettia, jotta tarvittavat potilasmäärät – jopa 500 000 lapsipotilasta – saataisiin mukaan tutkimuksiin. Monet tutkimuspaikat ovat kokemattomia ja niukasti resursoituja.

Lastenlääketutkimusten suunnittelu ja toteutus kaipaavat lastenlääkäreitä, -neurologeja, -psykiatreja ja -kirurgeja, jotta niiden loppuunsaattaminen onnistuisi paremmin. Kliinisten lastenlääketutkimusten tavoitteita ei pidä pitää pelkästään kaupallisina. Ne ovat lastenlääkkeiden tehon ja turvallisuuden tarpeellisia osoittajia,

sillä lääkkeiden poikkeuskäytön vaaroista lapsille on paljon tietoa (5).

Lastenlääketutkimusta on nyt lähdetty kehittämään laajalla eurooppalaisella IMI2-rahoitteella kehityshankkeella Conect4children (c4c), johon Suomikin osallistuu (6). Hanke käynnistyi vuoden 2018 toukokuussa. Mukana on 20

Suomen verkoston pysyminen mukana vaatii nyt panostusta.

maata, 33 sairaalaa tai tutkimusorganisaatiota sekä 10 lääkeyritystä, jotka ovat sitoutuneet kehittämään uusia lastenlääkkeitä, joiden lääketieteellinen tarve on suuri mutta kaupalliset markkinat pienet. HUS on mukana hankkeessa yhtenä partnerina ja toimii kansallisena koordinaattorina.

C4c-hankkeen tarkoituksena on luoda 6 vuoden kehitysvaiheen aikana pysyvä lastenlääketutkimusverkoston infrastruktuuri. Koordinoidulla toimintatavalla ns. yhden luukun kautta pyritään toteuttamaan korkealaatuisia rekisteröimiskriteerit täyttäviä lastenlääketutkimuksia kaikissa ikäryhmissä. C4c-verkosto panostaa sisäiseen koulutukseen sekä tietoisuuden lisäämiseen lastenlääketutkimuksesta.

Suomessa verkostotoiminnan pohjana toimii kansallinen lastenlääkkeiden tutkimusverkosto FINPEDMED, joka on 11 vuoden toimintahistoriansa ansiosta mukana hankkeessa. Haaste jokaiselle mukana olevalle maalle ja tutkimuspaikalle on lopulta täyttää c4c-verkoston tiukat laatu- ja tehokkuuskriteerit, jotka testataan verkoston kehitysvaiheen aikana. Suomen verkoston pysyminen mukana vaatii nyt jokaisen yliopistosairaalan ja niissä toimivien tutkimuskeskusten panostusta. ●