Bezpieczeństwo stosowania leków obecnych na rynku w populacji pediatrycznej. Badania kliniczne u dzieci

Wprowadzenie do obrotu nowego leku zawsze wiąże się z koniecznością realizacji badań klinicznych, które mają na celu sprawdzenie skuteczności i bezpieczeństwa stosowania przyszłego, potencjalnego leku w danej jednostce chorobowej. Biorą w nich udział pacjenci, którzy po zapoznaniu się z informacjami na temat badania m.in. korzyściami, ryzykiem, stosowaną terapią czy wymaganymi procedurami, podejmują świadomą, dobrowolną decyzję o uczestnictwie. Badania prowadzone są we wszystkich grupach wiekowych, jednak szczególną, wymagającą specjalnego podejścia i dodatkowego zaangażowania ze strony zespołu prowadzącego badanie jest populacja pediatryczna.

Badania z udziałem dzieci – dlaczego?

Zdrowie i dobrobyt dzieci często przez opiekunów stawiane są jako nadrzędne wartości. Jednym z elementów mających wpływ na ich zapewnienie jest dostęp do najlepszych metod leczenia. Wbrew przekonaniu, że organizm dziecka to „organizm małego dorosłego", terapia dzieci stanowi dla lekarzy zupełnie inny rodzaj wyzwania niż leczenie dorosłych. Szybki wzrost i dojrzewanie mogą mieć wpływ na zachowanie leku w organizmie i jego działanie na organizm oraz profil bezpieczeństwa, czyli m.in. występowanie działań niepożądanych. Lek stosowany u dorosłych i uważany powszechnie za bezpieczny, może więc zaszkodzić dziecku, jeśli nie został wcześniej przebadany. Ograniczony dostęp do leków dla dzieci, związany z brakiem badań z udziałem małoletnich i w konsekwencji nierejestrowaniem terapii w populacji pediatrycznej powoduje, że wiele z nich jest stosowanych poza zaleceniami zamieszczonymi w ulotce. Powstaje w tej sytuacji etyczny dylemat wyboru pomiędzy stosowaniem u chorego z populacji pediatrycznej leku, który nie został przebadany w tej grupie wiekowej i w związku z tym brakuje informacji na temat bezpieczeństwa jego stosowania, a stosowaniem leczenia z założenia mniej skutecznego, ale w pełni bezpiecznego lub zupełnego zaniechania leczenia z powodu braku leków zarejestrowanych w populacji pediatrycznej.

Specjalne wytyczne

Każde badania kliniczne jest prowadzone zgodnie z regulacjami prawnymi oraz standardami jakościowymi i etycznymi, a bezpieczeństwo i komfort uczestnika jest zawsze priorytetem. Ze względu na szczególną charakterystykę grupy oraz wymagania związane z realizacją badań z udziałem pacjentów małoletnich, badania te mogą być prowadzone pod warunkiem spełnienia dodatkowych wytycznych. Dotyczą one m.in. procesu uzyskiwania świadomej zgody. Aby małoletni mógł uczestniczyć w badaniu wymagana jest zgoda obojga rodziców bądź opiekunów prawnych, która powinna odpowiadać domniemanej woli małoletniego oraz zgoda samego małoletniego, w

przypadku ukończenia przez niego 13 roku życia. W sytuacji braku porozumienia między opiekunami lub opiekunami a małoletnim, który ukończył 13 rok życia., sprawę rozstrzyga sąd opiekuńczy. Przed przystąpieniem do badania i na każdym późniejszym etapie, badacz lub wskazana przez niego osoba ma obowiązek udzielenie małoletniemu pacjentowi zrozumiałych informacji dotyczących badania klinicznego oraz związanego z nim ryzyka i korzyści, podobnie jak to ma miejsce w przypadku uczestników pełnoletnich. Pomocne okazują się wtedy materiały informacyjne przygotowane specjalnie z myślą o młodych odbiorcach, przedstawiające w prosty, dostosowany do ich wieku sposób, kluczowe informacje na temat badania. W celu uniknięcia wystąpienia etycznych wątpliwości dotyczących zaangażowania pacjentów małoletnich, badanie z ich udziałem może być przeprowadzone tylko jeżeli konkretna grupa pacjentów potencjalnie odniesie bezpośrednie korzyści z tego badania, a jego realizacja jest niezbędna dla potwierdzenia danych uzyskanych w innych badaniach z udziałem uczestników zdolnych do wyrażenia świadomej zgody lub w badaniach klinicznych prowadzonych innymi metodami naukowymi. Dodatkowo badanie musi dotyczyć choroby występującej u małoletniego uczestnika lub jest możliwe do przeprowadzenia tylko z udziałem małoletnich oraz zostało zaplanowane w taki sposób, aby zminimalizować niedogodności i możliwe do przewidzenia ryzyko związane z chorobą i wiekiem pacjenta.

Korzyści wynikające z prowadzenia badań klinicznych z udziałem małoletnich.

Część potencjalnych korzyści związanych z prowadzeniem badań z udziałem dzieci jest analogiczna, jak w przypadku badań z zaangażowaniem innych grup wiekowych. Dla uczestnika badania to m.in. dostęp do bezpłatnej, ponadstandardowej opieki medycznej, stały kontakt z najlepszymi specjalistami czy szansa na otrzymanie innowacyjnego leczenia. Z perspektywy systemu ochrony zdrowia i populacji pediatrycznej jako specyficznej grupy pacjentów, badania kliniczne to możliwość uzyskania dostępu do nowych, bezpiecznych terapii, zmniejszenie ilości leków stosowanych poza zaleceniami opisanymi w ulotce, zmniejszenie ilości powikłań związanych z leczeniem oraz ostatecznie, podniesienie komfortu i jakości życia dzieci i ich opiekunów.

Artykuł powstał w ramach obecnie prowadzonej kampanii społecznej o charakterze informacyjno-promocyjnym dotyczącej realizowanych projektów B+R z dziedziny nauk medycznych, w tym z obszaru onkologii. Kampania społeczna jest realizowana przez Agencję Badań Medycznych oraz finansowana ze środków Ministra Zdrowia.

Poprzedni Strona
Następny Strona