



Kommentar

Debattinnlegg på inntil 800 ord sendes inn via
www.manusnett.no

Små pasienter – store utfordringer

Manglende dokumentasjon av effekt og sikkerhet ved legemidler for barn har lenge bekymret foreldre, fagmiljø, helsemyndigheter og legemiddelindustri. EU-kommisjonens forslag om nytt regelverk på området blir forhåpentligvis vedtatt mot slutten av 2006 og vil da også gjelde i Norge.

I debatten om legemidler til barn fremheves ofte industriens påstått manglende vilje til å utvikle legemidler for små grupper med lite kommersielt potensial og dens negative holdning til det nye regelverket (1–3). Europeisk legemiddelindustri har imidlertid hele veien støttet initiativet for å sikre bedre legemidler for barn og er en viktig samarbeidspartner i dette arbeidet (4).

Som all annen industri er legemiddelindustrien avhengig av et rimelig forhold mellom utviklingskostnader og inntjeningsmuligheter. Dette er en forutsetning for å drive legemiddelutvikling. Myndighetene kan stimulere utvikling ved incentiver som forlenget markedseksklusivitet, som nå er foreslått i EU og som man har god erfaring med fra USA (5). Dette vil kompensere for økte utviklingskostnader og dermed stimulere til legemiddelutprøving med barn. Økonomi er imidlertid bare én av mange utfordringer når det gjelder utvikling av legemidler for barn.

Etiske og praktiske utfordringer

Det har historisk sett vært lite etisk akseptabelt å gjøre kliniske studier med barn. Selv om man har endret syn på dette, gjenstår det mange utfordringer. Den kanskje vanskeligste vurderingen er *når* i legemiddelutviklingen det er riktig å starte utprøving med barn. I de fleste tilfeller vil dette først være etisk forsvarlig når man har et bilde av effekt og bivirkninger hos voksne, og dermed sjelden i starten av utviklingen. Selv med nytt regelverk får man derfor fortsatt, i en del tilfeller, valget mellom å bruke et legemiddel som bare er godkjent for voksne

eller la være å behandle barnet. En annen utfordring er prinsippet om samtykkekompetanse. Å gi tilrettelagt informasjon til barnet før en klinisk studie og å vurdere barnets forståelse og vilje er krevende. Noen etiske betenkeligheter blir forsterket når det gjelder behandling av barn, f.eks. bruk av placebo.

Sentralt ved godkjenning av et legemiddel står prinsippet om at nytten må være større enn risikoen. Nytte-risiko-profilen til et legemiddel kan være forskjellig for barn og voksne. I tillegg er barn en sammensatt gruppe, og det er store variasjoner i effekt og bivirkninger mellom og innenfor ulike aldersgrupper. Effekt og sikkerhet må derfor kartlegges i flere ulike aldersgrupper. Dette fører til begrenset tilgang på pasienter, noe som kan påvirke studieresultatene pålitelighet og sannsynligheten for å registrere alvorlige bivirkninger. Kartleggingen av virkning kompliseres ytterligere hvis barnet ikke har språk – smil og gråt reflekterer ikke nødvendigvis effekt og bivirkninger. Andre praktiske utfordringer er å frembringe alternative legemiddelformer som er enkle å gi til barn, samt prøvetaking. Fordi det ofte ikke er mulig å ta ut et tilstrekkelig blodvolum, må det utvikles mikromålemetoder.

Dagens praksis

Det er viktig å skille mellom legemidler som er evaluert og godkjent for barn og legemidler som brukes utenfor godkjent indikasjon. Det er uheldig når det fremstår som om det ikke finnes noen legemidler som er godkjent for bruk hos barn (3). Foreldrene bør selv sagt informeres dersom legemidlet ikke har slik godkjenning. Legen må da i samråd med dem vurdere nytteeffekt kontra risiko i hver enkelt situasjon. Forskrivning utenfor indikasjon er legens ansvar, og innebærer høyere risiko for feilbehandling. Både legemiddelindustrien, helsemyndigheter og leger ønsker å redusere slik bruk. Legemidler med markedsføringstillatelse utstedt av Legemiddelverket har dokumentert kvalitet, sikkerhet og effekt og bør etter vår mening foretrekkes fremfor legemidler uten slik tilatelse.

Veien videre

Det er bred enighet om at barn som trenger legemidler bør få et bedre tilbud. Det nye regelverket pålegger og stimulerer legemiddelindustrien til å utrede alle relevante nye legemidler til bruk hos barn. Et felles europeisk program for dokumentasjon av eksisterende legemidler til bruk for barn er skissert. Europeiske og amerikanske myndigheter intensiverer nå samarbeidet på dette området (6). For å unngå unødvendige utprøvinger med barn har myndighetene tatt initiativ til å samle og evaluere alle internasjonale data i et europeisk samarbeid. Dette arbeidet vil forhåpentlig føre til at flere legemidler med tilgjengelig dokumentasjon vil bli godkjent for barn. Økt kompetanse på området er nødvendig i både forvaltning og industri. Den nye EU-komiteen for legemidler for barn får en sentral rolle, og skal bl.a. bestemme hvilke midler som bør prioriteres samt veilede industrien i utviklingsarbeidet.

Gjennom tett dialog mellom myndigheter, fagmiljø, legemiddelindustri og foreldre, også i Norge, vil vi kunne sikre at vi på en rask og etisk forsvarlig måte kan bedre behandlingstilbudet til barn. Arbeidet bør forankres hos myndighetene, og Legemiddelindustriforeningen ser frem til et konstruktivt samarbeid.

Elen Høeg

eh@lmi.no

Legemiddelindustriforeningen

Manuskriptet ble godkjent 22.5. 2006.

Oppgitte interessekonflikter: Forfatteren arbeidet i Photocure ASA 2000–05 og har aksjer i firmaet.

Litteratur

1. European Commission. <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/paediatrics/index.htm> (1.6.2006).
2. Kalikstad B, Gramstad L. Medisin for de store – og for de små? Tidsskr Nor Lægeforen 2005; 125: 1470.
3. Eliassen HE. Barnemedisin testes ikke. Aftenposten 6.1.2006. www.aftenposten.no/helse/article1192002.ece (11.5.2006).
4. EFPIA pressemelding september 2004. www.efpia.org/3_press/20040929.htm (11.5.2006).
5. FDA pressemelding desember 2005. www.fda.gov/bbs/topics/NEWS/2005/NEW01280.html (11.5.2006).
6. EU-FDA pressemelding mars 2006. http://pharmacos.eudra.org/F2/pharmacos/docs/Doc2006/02_2006/eu-fda_pr14_14-03-2006.pdf (11.5.2006).