

Tytuł: Prawne i kliniczne aspekty pozarejestracyjnego stosowania leków u dzieci. / Legal and clinical aspects of unlicensed and “off-label” use of medicines in children.

Słowa kluczowe: dopuszczenie do obrotu działania niepożądane zastosowanie pozarejestacyjne leki pediatryczne

Keywords: adverse effects marketing authorization unlicensed prescribing “off-label” prescribing pediatric drugs

Autorzy:

Paweł Grzesiowski - Fundacja Instytut Profilaktyki Zakażeń, Stowarzyszenie Higieny Lecznictwa

Streszczenie:

Ponad połowa leków dopuszczonych obecnie do obrotów w Europie nie była poddana badaniom klinicznym pod względem skuteczności i bezpieczeństwa w populacji pediatrycznej. Jest to główną przyczyną częstego pozarejestracyjnego stosowania leków w tej grupie pacjentów, szczególnie w lecznictwie zamkniętym, mimo iż wiąże się to z podwyższonym ryzykiem występowania działań niepożądanych. Najczęściej leki są podawane w inny niż dopuszczony sposób, co jest wynikiem braku dostępnych form leku lub odmiennego dawkowania, rzadziej u dzieci stosowane są leki zarejestrowane wyłącznie w populacji dorosłych. W Unii Europejskiej w 2007 r. weszło w życie Rozporządzenie Pediatryczne wprowadzające zmiany w systemie rejestracji leków pediatrycznych oraz nowe wymagania i systemy motywacyjne dotyczące prac rozwojowych nad produktami leczniczymi z tej grupy. W Europejskiej Agencji Leków powołany został Komitet Pediatryczny, którego zadaniem jest doradztwo naukowe, opiniowanie wniosków i planów badań klinicznych w populacji pediatrycznej, ustanowiono także europejską sieć koordynującą badania prowadzone w tym zakresie w krajach członkowskich. W praktyce klinicznej, w przypadku braku jednoznacznej informacji o przeciwwskazaniach do podania określonego leku w populacji pediatrycznej, podjęcie decyzji o pozarejestracyjnym zastosowaniu tego leku powinno być oparte na analizie korzyści i ryzyka, wynikach wiarygodnych badań naukowych oraz zaleceń ekspertów. Aktywna promocja pozarejestracyjnego zastosowania leku, jest niezgodna z prawem i przypadki takich działań powinny być zgłaszane do agencji odpowiedzialnej za rejestrację leków.

Abstract:

Efficacy and safety of more than half of today licensed medicines in Europe have not been tested in pediatric population. It leads to the frequent “off-label” and unlicensed use of medicines in this group of patients, especially in hospitals. The lack of pediatric data leads to increase the risk of adverse effects. Most frequently, dosage and route of administration prescribed in children are not compliant with authorization documents or available forms, however use in children medicines registered only for adults is less frequent. In 2007 new Pediatric Regulation was introduced in European Union changing authorization procedures for pediatric medicines

and creating new requirements and motivation systems for pharmaceutical industry promoting clinical trials in this area. According to the Regulation, Pediatric Committee in EMEA was established, which is responsible for scientific advice, evaluation of applications and plans of clinical trials in pediatric population. Additionally, European network for pediatric medicines was introduced, coordinating trials undertaken in member states. In clinical practice, in case of absence of strict contra-indication of use of particular medicine in children, decision concerning "off-label" use should be based on detailed risk-benefit analysis according to scientific data and expert opinion. Active promotion of "off-label" use of medicines is illegal and should be reported to the authorization agency.