

Ann Marie Tötterman

FaT, dosentti (farmasian teknologia)

Erikoistutkija, EMAn lastenlääkekomitean jäsen, Fimea

# Lastenlääkeasetus toiminnassa – missä mennään?

EU:n lastenlääkeasetuksen (1901/2006) voimaantulosta vuonna 2007 on kulunut jo yli kymmenen vuotta. Tänä aikana markkinoille on tullut yli 200 lapsille tutkitusti sopivaa lääkevalmistetta joko aivan uusina myyntilupina tai uusina käyttöaiheina. Määrä kattaa lähes neljäsosan kaikista uusista, EU:n lääkemarkkinoille hyväksytyistä lääkkeistä. Fimea, ja sen edeltäjä Lääkelaitos, on ollut aktiivisesti mukana lastenlääkeasetuksen toimeenpanossa ja lapsille sopivien lääkkeiden arvioinnissa.

**L**astenlääkeasetuksen myötä Euroopan lääkeviraston lastenlääkekomitea (Paediatric Committee, PDCO) on vakiinnuttanut toimintansa asetuksen toimeenpanijana.

PDCO:n tehtävänä on tukea lasten tarvitsemien lääkkeiden kehittämistä ja tutkimusta EU:ssa ja turvata se, että lapsille soveltuvia, tutkittuja ja mahdollisimman turvallisia lääkkeitä saadaan markkinoille. Toimintaan kuuluvat muun muassa lastenlääkettä koskevien tutkimusohjelmien (Paediatric Investigation Plan, PIP) sisällöstä sopiminen, tieteellinen neuvonta, ohjeistojen laatiminen ja lastenlääkintään liittyvien tarpeiden selvittäminen.

Kaikille uusille Euroopan markkinoille pyrkiville lääkkeille on sovittava lastenlääkettä koskeva tutkimusohjelma (PIP) lastenlääkekomitean kanssa. PDCO on hyväksynyt tähän mennessä (8/2018) lähes 1 100 tutkimusohjelmaa, ja poikkeuslupia olla tutkimatta lääkettä lapsilla (waiver) on myönnetty runsaat 600. Vaikka lapsille kehitettäviä valmisteita on paljon, ohjelmista sovitaan yleensä suhteellisen var-

haisessa kehitysvaiheessa (Faasi-II:n aikana), ja siksi ehkä vain puolet valmisteista päätyy koskaan markkinoille. Loppuun saatettuja tutkimusohjelmia on toistaiseksi 163, mutta määrä kasvaa koko ajan.

Lastenlääkeasetuksella on ollut selkeä positiivinen vaikutus lapsille sopivien lääkkeiden ja käytettävissä olevan lääkeinformaation määrään. Lastenlääkkeistä alkaa vihdoin tulla vakiintunut osa lääkekehitystä. Lapsille uusia lääkkeitä tai käyttöaiheita uusille, nuoremmille ikäryhmille on tullut esimerkiksi reumasairauksiin. Markkinoille on saatu myös useita lapsille tutkitusti sopivia valmisteita virus-, bakteeri- ja sieni-infektioiden hoitoon tai verenpaineen ja kolesterolin alentamiseen. Myös neuroblastooman hoitoon on saatu ensimmäinen valmiste.

Lastenlääkekehitys on nostanut esille lasten kliinisten tutkimusten haasteet. EMA koordinoi eurooppalaista lastenlääkkeiden tutkimusverkostoa (European Network of Paediatric Research, Enpr-EMA), joka keskittyy lastenlääkkeiden kliinisten tutkimusten

edistämiseen. EU-rahoitusta on juuri myönnetty eurooppalaisen infrastruktuurin kehittämiseen (c4c). Suomessa Fimea tukee lasten klinisiä tutkimuksia yhdessä FINPEDMEDin Lääketieteellisyys ry:n ja TUKIJAn kanssa. ●

## 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](http://www.ec.europa.eu)
- Hoppu K ja Lepola P. Suomi mukana kansainvälisessä lastenlääketutkimuksessa. *Sic!* 2018 (8)4: 11–3.
- Tomasi P, ym. Enabling development of paediatric medicines in Europe: 10 Years of the EU paediatric regulation. *Pediatr Drugs* 2017; 19: 505–513.

