

Pacjenci w badaniach

<https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/3062,Tadzik-edukuje-Badania-kliniczne-w-pediatric.html>

18.04.2025, 18:32

Tadzik edukuje: Badania kliniczne w pediatrii



Witajcie, to ja Tadzik - Wasz Ambasador Badań Klinicznych. Dzisiaj chcę przybliżyć Wam temat pediatrycznych badań klinicznych. Z tego artykułu dowiecie się m.in.:

- ➔ Co to są pediatryczne badania kliniczne?
- ➔ Jakie są grupy wiekowe w populacji pediatrycznej?
- ➔ Ile pediatrycznych badań klinicznych prowadzonych jest w Polsce?

Szczególną grupę pacjentów stanowi populacja pediatryczna, czyli osoby, które nie ukończyły 18 roku życia. Obecnie wiadomo, że ze względu na znaczną odmienność pod względem fizycznym i psychicznym oraz w profilach farmakokinetycznych i farmakodynamicznych leków, dzieci nie mogą być traktowane jak osoby pełnoletnie. Niewskazane jest zatem dawkowanie u nich leków zgodnie z ustalonymi schematami dla dorosłych, gdyż takie leczenie może być nieskuteczne, a nawet wywoływać niepożądane efekty i prowadzić do zaburzeń funkcji wielu narządów. Wobec powyższego, konieczne jest prowadzenie badań klinicznych nad badanymi produktami leczniczymi w populacji pediatrycznej. Dzięki nim możliwe jest określenie odpowiedniej dawki oraz zapewnienie dostępu do nowych i skutecznych [produktów leczniczych](#) osobom niepełnoletnim.

Prowadzenie pediatrycznych badań klinicznych jest szeroko dyskutowane pod względem etycznym. W celu zapewnienia bezpieczeństwa ich uczestnikom przestrzegane są nie tylko obowiązujące regulacje prawne dotyczące badań klinicznych, ale także zostały opracowane wymogi dotyczące tych prowadzonych w populacji pediatrycznej. Nadrzędną rolę w zakresie przestrzegania najwyższych standardów opieki nad niepełnoletnimi uczestnikami badań klinicznych pełni Komitet Pediatryczny.

Został on utworzony w 2007 roku przez Europejską Agencję Leków (ang. *European Medicines Agency*, EMA) w celu oceny treści planów pediatrycznych badań klinicznych.

Dodatkową trudnością związaną z prowadzeniem pediatrycznych badań klinicznych jest duże zróżnicowanie wiekowe w tej populacji, a co się z tym wiąże występowanie znacznych różnic we wzroście i rozwoju pacjentów do 18 r.ż. Ze względu na odmienną biologię i farmakologię populacji pediatrycznej, wyróżnia się w niej kilka grup wiekowych. Odpowiednia klasyfikacja umożliwia określenie skuteczności działania badanego produktu leczniczego, metod diagnostycznych oraz procedur leczniczych zgodnie z ich fizjologią. W tabeli 1, przedstawiono propozycje kategoryzacji populacji pediatrycznej ze względu na wiek zaproponowaną przez Agencję Żywności i Leków (ang. *Food and Drug Administration*, FDA) oraz w dodatku do zharmonizowanych wytycznych ICH11: badania kliniczne produktów leczniczych w populacji pediatrycznej (ang. *ICH HARMONISED GUIDELINE ADDENDUM TO ICH E11: CLINICAL INVESTIGATION OF MEDICINAL PRODUCTS IN THE PEDIATRIC POPULATION*, ICH E11 (R1)).

Tabela 1. Kategoryzacja populacji pediatrycznej ze względu na wiek wg Agencja Żywności i Leków (ang. *Food and Drug Administration*, FDA) oraz w dodatku do zharmonizowanych wytycznych ICH11: badania kliniczne produktów leczniczych w populacji pediatrycznej (ang. *ICH HARMONISED GUIDELINE ADDENDUM TO ICH E11: CLINICAL INVESTIGATION OF MEDICINAL PRODUCTS IN THE PEDIATRIC POPULATION*, ICH E11 (R1)).

	FDA	ICH E11(R1)
Kategorie wiekowe	NOWORODKI od urodzenia do 27 dnia, skorygowane o wiek ciążowy	NOWORODKI PRZEDWCZEŚNIE URODZONE NOWORODKI URODZONE O CZASIE od 0 do 27 dni
	NIEMOWLĘTA od 28 dni do 23 miesięcy	NIEMOWLĘTA I MAŁE DZIECI od 28 dni do 23 miesięcy
	DZIECI Od 2 do 11 lat	DZIECI od 2 do 11 lat
	MŁODZIEŻ od 12 do mniej niż 17 lat	MŁODZIEŻ od 12 do 16-18 lat (w zależności od regionu)

FDA – Agencja Żywności i Leków (ang. *Food and Drug Administration*)

ICH E11 (R1) – Dodatek do zharmonizowanych wytycznych ICH11: badania kliniczne produktów leczniczych w populacji pediatrycznej (ang. *ICH HARMONISED GUIDELINE ADDENDUM TO ICH E11: CLINICAL INVESTIGATION OF MEDICINAL PRODUCTS IN THE PEDIATRIC POPULATION*, ICH E11 (R1))

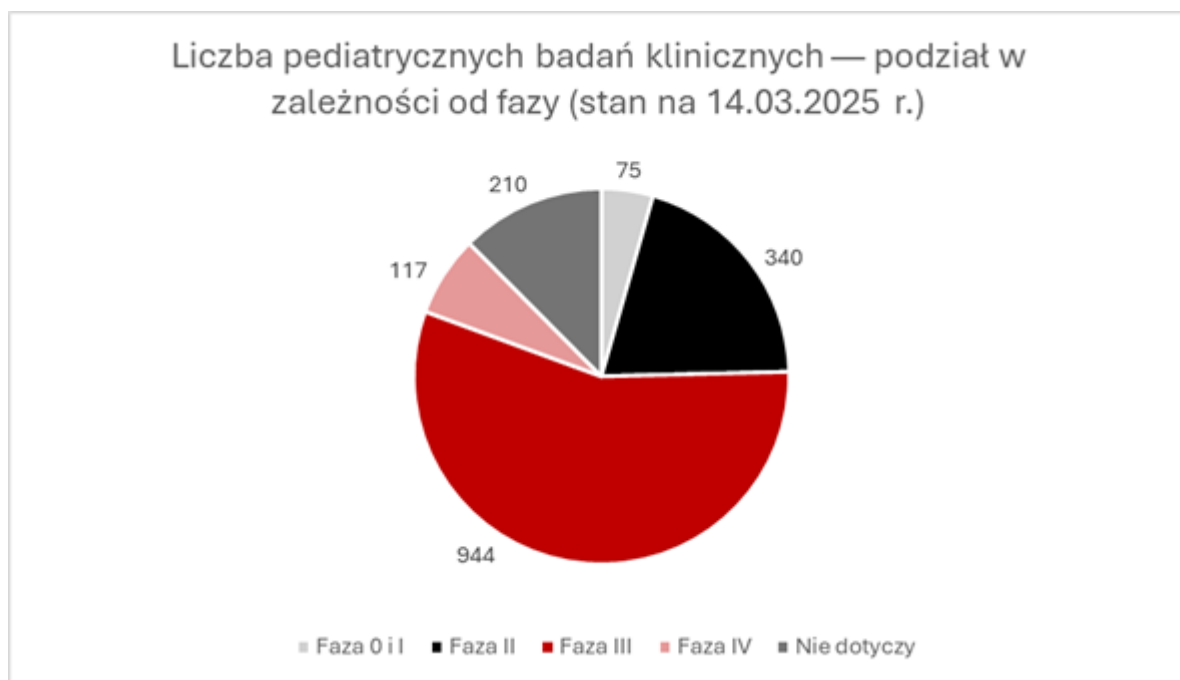
Zgodnie z powyższą klasyfikacją, podczas przygotowywania protokołu pediatrycznego badania

klinicznego, uwzględnia się czynniki charakterystyczne dla danej grupy, które mogą wpłynąć na poprawną ocenę skuteczności badanego produktu leczniczego. Na przykład w projekcie badania obejmującego grupę niemowląt uwzględnia się wpływ szybkiego wzrostu organizmu i dojrzewanie ośrodkowego układu nerwowego (OUN), zaś u młodzieży zwraca się uwagę m.in. na niestabilność gospodarki hormonalnej.

Obecnie na świecie zarejestrowanych jest 103 666 aktywnych pediatrycznych badań klinicznych będących na różnych etapach zaawansowania (stan na 14.03.2025 r.). Zaledwie ~2% z wszystkich aktywnych badań klinicznych z udziałem osób do 18 r.ż. prowadzonych jest w Polsce (Wykres 1). Ponad połowę z nich stanowią badania przedrejestracyjne – fazy III (Wykres 2).



Wykres 1. Liczba aktywnych pediatrycznych badań klinicznych prowadzonych na świecie i w Polsce (stan na 14.03.2025 r.). [Źródło danych: www.clinicaltrials.gov, dostęp: 14.03.2025 r., 07:40).



Wykres 2. Liczba aktywnych pediatrycznych badań klinicznych prowadzonych w Polsce w zależności od fazy – stan na 13.03.2025 r. [Źródło danych: www.clinicaltrials.gov, dostęp: 14.03.2025 r., 07:43).

Referencje::

- Łuczak A., Magiera M., Szałek E. 2018. Badania kliniczne w populacji pediatrycznej *Clinical trials in the paediatric population*. Farmacja współczesna, 11: 42-48.
- ICH HARMONISED GUIDELINE ADDENDUM TO ICH E11: CLINICAL INVESTIGATION OF MEDICINAL PRODUCTS IN THE PEDIATRIC POPULATION E11 (R1). Final version Adopted on 18 August 2017
- Pediatric Drug Development: Regulatory Considerations — Complying With the Pediatric Research Equity Act and Qualifying for Pediatric Exclusivity Under the Best Pharmaceuticals for Children Act Guidance for Industry. Administrative/Procedural Revision. FDA, 2023
- <https://www.precisionformedicine.com/blog/fda-guidance-on-pediatric-drug-development/> [dostęp: 12.03.2025, 12:55].

Autorka: dr Daria Urbańska

Informacje zawarte w artykule mają charakter ogólny i są zgodne z przepisami oraz wiedzą obowiązującymi w momencie publikacji. W związku z możliwością zmiany przepisów prawnych, należy upewnić się, że nie zostały wprowadzone nowe regulacje, które mogą wpłynąć na przedstawione informacje.

