Pacjenci w badaniach

https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/dla-pacjenta/badania-kliniczne-z-udz/195,Badania-kliniczne-z-udzialem-dzieci.html
06.07.2025, 00:35

Badania kliniczne z udziałem dzieci

Na przestrzeni kilkudziesięciu lat obserwujemy dyskusję na temat warunków oraz możliwości prowadzenia badań klinicznych w populacji dzieci i młodzieży. Środowisko pediatrów od lat alarmowało opinię publiczną doniesieniami o ograniczonym dostępie do leków dla dzieci i młodzieży (stosowane leki nie były zarejestrowane do użytku w populacji pediatrycznej).

Amerykańska Akademia Pediatryczna (AAP) już w latach ‘70 (1977) opublikowała odpowiednie zalecenia przeprowadzania badań naukowych (Guidelines for the Ethical Conduct of Studies to Evaluate Drugs in Pediatric Population). W 1995 r. AAP zaktualizowała zalecenia wskazując, że nieetyczne jest ograniczanie dzieciom dostępu do istniejących, jak i nowych środków farmakologicznych. Jednocześnie wskazano, że umożliwienie przeprowadzenia odpowiednich badań leży w gestii przemysłu farmaceutycznego i agencji rządowych.

Badania kliniczne odgrywają kluczową rolę w określaniu bezpieczeństwa i skuteczności nowych terapii. Możliwość poszukiwania alternatywnych metod leczenia jest niezwykle istotna zwłaszcza w przypadku populacji pediatrycznej ze względu na fakt, że stosowanie nowych leków bez pełnej znajomości ich wpływu na organizm dziecka zwiększa zagrożenie wystąpienia działań niepożądanych w trakcie terapii. Szybki wzrost i dojrzewanie dziecka, mogą znacząco zmienić farmakokinetykę, farmakodynamikę oraz profil bezpieczeństwa leku, w porównaniu z organizmem dorosłego człowieka. Istnieje ryzyko, że nieprzebadany odpowiednio lek zaszkodzi dziecku, co jest istotnym etycznie argumentem, przemawiającym za koniecznością prowadzenia badań klinicznych w populacji pediatrycznej.

Bez rzetelnych badań klinicznych nie można mówić o bezpiecznej i celowanej terapii. W chwili obecnej blisko 50% stosowanych w medycynie leków nie ma rejestracji dla grupy pediatrycznej i stosuje się je wbrew zaleceniom zamieszczonym w ulotce (tzw. zastosowanie „off-label”) - brak wiedzy na temat odpowiedniego dawkowania, efektów ubocznych, sposobu wchłaniania, wydalania, czasu półtrwania w poszczególnych grupach wiekowych dzieci. Z drugiej strony nie stosowanie tych leków spowodowałoby uniemożliwienie leczenia wielu chorób i schorzeń oraz było by nieetyczne.

Badania kliniczne w populacji pediatrycznej umożliwiają:

- Dostęp do nowych terapii
- Zmniejszenie ilości stosowanych leków „off-label” (poza zaleceniami opisanymi w ulotce)
- Zwiększenie bezpieczeństwa terapii
- Zmniejszenie ilość powikłań związanych z leczeniem dzieci

- Podniesienie komfortu i jakości życia dzieci i ich rodzin
- Unikniecie stygmatyzacji i marginalizowania dzieci jako „małych dorosłych”

Dzieci jako uczestnicy badań klinicznych

Wg. Konwencji o Prawach Dziecka przyjętej przez Zgromadzenie Ogólne Narodów Zjednoczonych w dniu 20 listopada 1989 r. za dziecko uważa się każdą istotę ludzką w wieku poniżej osiemnastu lat, chyba, że zgodnie z prawem odnoszącym się do dziecka uzyska ono wcześniej pełnoletniość. Rozwój medycyny idzie w parze z aktualizacją prawną statusu „dziecka” na arenie międzynarodowej. Nauki medyczne wskazują, że dziecko nie jest to mały dorosły i należy tą definicję uzupełnić. Dla potrzeb badań klinicznych, ale również dopuszczania do obrotu produktów leczniczych populację pediatryczną dzieli się na następujące podgrupy (ICH 11):

Tab.1 Okresy rozwoju dziecka wg. ICH 11

Definicja wieku dziecięcego	Wiek dziecka
Wcześniak	poniżej 37 tydzień ciąży
Noworodek	0-27 dni
Niemowlę i małe dziecko	28 dzień - 23 miesiąc życia
Dzieci	2–11 lat
Nastolatek	12-18 lat

Źródło: Opracowanie IPCZD na podstawie ICH Topic E 11 Clinical Investigation of Medicinal Products in the Paediatric Population

Aspekty prawne i etyczne w badaniach klinicznych z udziałem populacji pediatrycznej.

Poza aspektem medycznym określającym definicje populacji pediatrycznej niezwykle ważne są aspekty etyczne oraz ochrona prawna zapewniona dzieciom w trakcie całego badania klinicznego.

W ramach prowadzenia badań klinicznych z udziałem dzieci Polskę obowiązują dyrektywy Parlamentu Europejskiego dotyczące badań klinicznych, dobrej praktyki klinicznej, dobrej praktyki wytwarzania produktów farmaceutycznych stosowanych u ludzi i dzieci (dziecko to nie mały dorosły), posiadania odpowiednich zezwoleń na import produktów leczniczych, co reguluje Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2019/5 z dnia 11 grudnia 2018 r. ustanawiające wspólnotowe procedury wydawania pozwoleń dla produktów leczniczych stosowanych u ludzi.

Kolejnym ważnym aktem prawnym w Unii Europejskiej jest tzw. rozporządzenia pediatrycznego tj. Rozporządzenie (WE) nr 1902/2006 Parlamentu Europejskiego i Rady w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii. Obowiązujące od 2007 r. Rozporządzenie Pediatryczne określa

zasady planowania i prowadzenia badań klinicznych w populacji pediatrycznej w UE. Szczegółowe informacje dostępne są na stronie Europejskiej Agencji Leków (EMA) (www.ema.europa.eu).

W Unii Europejskiej etyczne wytyczne związane z przeprowadzaniem badań klinicznych w populacji pediatrycznej są unormowane w dokumencie z 18 września 2017 r. (opracowane przez grupę ekspertów pracujących nad rozporządzeniem nr 536/2014) .

W Polsce aktami prawnymi, które dodatkowo regulują zasady przeprowadzania badań klinicznych w pediatrii są m.in.:

- Ustawy: o zawodzie lekarza, działaniu komisji bioetycznych, prawie farmaceutycznym, Urzędzie Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych
- Rozporządzenia: Ministra Zdrowia w sprawie sposobu prowadzenia badań klinicznych z udziałem osób małoletnich, Rozporządzenie Ministra Zdrowia w sprawie Dobrej Praktyki Klinicznej

Poza aspektami prawnymi ważnym elementem każdego badania klinicznego jest ocena etyczna samego badania. W Polsce jednymi z najważniejszych dokumentów w tej kwestii są:

- Kodeks Etyki Lekarskiej
- Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 536/2014 mówiące o przekazaniu wiedzy o badaniu w sposób zrozumiały przez małoletniego

Udzielanie świadomej zgody w badaniach pediatrycznych

Prawo polskie określa potrzebę uzyskania zgody jednego z opiekunów prawnych do udziału dziecka w badaniu klinicznym, zwyczajowo jednak przyjmowana jest zgoda obojga opiekunów. W przypadku, gdy osoba niepełnoletnia mając <16 lat jest w stanie świadomie w formie pisemnej lub ustnej (przy dwóch świadkach) wyrazić zgodę, należy taką zgodę lub odmowę zaakceptować. Badacze są zobligowani do przekazywania rzetelnej informacji dotyczącej badania w sposób nie wpływający na decyzje. Wśród ekspertów są prowadzone dyskusje nad zmianami prawa lub wprowadzaniem dodatkowych wytycznych związanych z wiekiem, a uzyskiwaniem świadomej zgody dziecka. Coraz więcej głosów jest za tym, aby coraz młodsze dzieci miały prawo wypowiadać się na temat swojego udziału w badaniach klinicznych oraz by badacze respektowali ich zdanie.