

## PedCRIN: Parempia lääkkeitä lapsille kehittämällä tutkimuksen infrastruktuuria

### Mikä PedCRIN?

PedCRIN (Paediatric Clinical Research Infrastructure Network) on ECRIN:n (European Clinical Research Infrastructure Network) ja EPCT-RI:n (European Paediatric Clinical Trial Research Infrastructure) perustajajäsenten yhteinen projekti, jonka tarkoitus on kehittää lisäkapasiteettia monikansallisten kliinisten lastenlääketutkimusten hanke-hallinnointiin. PedCRIN on nelivuotinen projekti, jota rahoitetaan Euroopan unionin Horisontti 2020 -ohjelmasta. Projekti alkoi 1.1.2017<sup>1</sup>.

PedCRIN saattaa yhteen lastenlääkärit ja muut asiantuntijat ympäri Eurooppaa (ja maailmaa), jotta he voivat yhdistää resurssinsa ja osaamisensa korkealaatuisen tutkimuksen tekemiseksi samalla minimoiden riskejä ja suojellen tutkimuksiin osallistuvia lapsipotilaita.

### Riittämättömän lastenlääketutkimusten seurauksia

Monia lääkevalmisteita ei ole tutkittu riittävästi lapsilla tai viranomaislupaa niiden käyttöön lapsilla ei ole. Riittämättömällä lastenlääketutkimuksella on monia seurauksia:

- Lapsille sopivia lääkemuotoja ei ole saatavilla
- Lääkkeiden poikkeuskäyttö (ns. off-label käyttö) on yleistä lapsilla
- Hoito voi olla tehotonta
- Annostelu voi olla epätarkkaa
- Varoitukset mahdollisista haittavaikutuksista ja haittatapahtumista ovat puutteellisia koskien lääkevalmisteiden käyttöä lapsilla
- Uusia ja innovatiivisia lääkkeitä, joilla on lapsia koskeva käyttöaihe, on tarjolla mutta tietoa niiden käytön pidemmän aikavälin hyödyistä ja riskeistä puuttuu, esim. biologiset lääkkeet.

### Lasten ja aikuisten välillä on suuria eroja

Lapset reagoivat lääkkeisiin ja muihin hoitovalmisteisiin usein eri tavoin kuin aikuiset. Lapset eroavat aikuisista niin anatomialtaan kuin elintoiminnoiltaan. Lapsilla on erityyppisiä sairauksia kuin aikuisilla ja lisäksi sairaudet ilmenevät lapsilla ja aikuisilla eri tavoin. Lapsilla voi olla myös erilainen vaste lääkevalmisteisiin, jotka saattavat vaikuttaa elimistön kasvuun ja kehitykseen, tai niillä voi olla psykososiaalisia vaikutuksia. On myös mahdollista, että vastasyntyneillä vaste on erilainen kuin vanhemmilla vauvoilla ja lapsilla, eikä pelkkä annoksen muuttaminen ole (aina) oikea ratkaisu. Kliiniset lääketutkimukset lapsilla ovat siis ehdottoman tärkeitä, jotta lapset saavat riittävän kattavasti asianmukaista, turvallista ja tehokasta lääkehoitoa. Lastenlääketutkimukset ovat usein haastavampia toteuttaa kuin aikuisten tutkimukset ja tutkimukseen sopivia lapsia on usein vähän. Lapsilla ja aikuisilla on kuitenkin oltava yhtäläiset oikeudet saada korkealuokkaista ja tutkimuksiin perustuvaa lääke- ja terveydenhoitoa.

### Kliinisiä lastenlääketutkimuksia tarvitaan lisää

Kliiniset lastenlääketutkimukset ovat monin tavoin mutkikkaita. Tutkimuksissa täytyy ottaa huomioon turvallisuustekijät, eettiset näkökohdat, tietoinen suostumus, sairauden pienempi esiintyvyys, tarve tutkia lääkettä eri ikäryhmissä, myöhäisten haittavaikutusten mahdollisuus, vaatimus räätälöidystä tutkimussuunnitelmasta ja lapsille sopivan lääkemuodon tarve. Jotta lasten sairauksien hoitoa ja ennaltaehkäisyä voitaisiin parantaa, on tehtävä enemmän lasten kliinisiä lääketutkimuksia, joiden tavoitteena on kehittää erityisesti lapsille tarkoitettuja hoitoja, lääkkeitä ja laitteita.

Lastenlääketutkimukset ovat välttämättömiä tutkittaessa lääkeaineen tehoa ja turvallisuutta, jos se on tarkoitettu sellaisten sairauksien hoitoon,

- joita esiintyy vain lapsilla tai joiden oireet ja kulku ovat erilaiset lapsilla;
- joita on sekä aikuisilla että lapsilla ja niille ei vielä ole hoitoa;
- joita on aikuisilla ja lapsilla, ja hoito on olemassa, mutta tieto tehosta tai turvallisuudesta lapsilla on puutteellista.

### **Ei-kaupallisilla monikansallisilla tutkimuksilla on monia haasteita**

Kaupallisesti tuetuilla (lääke- ja bioteknologiatoiminta) kliinisillä tutkimuksilla kehitetään uusia lääkkeitä, joilla voidaan hoitaa monenlaisia sairauksia. On kuitenkin huomioitava, että näissä tutkimuksissa arvioidaan vain ne lääkkeet, joita prosessin rahoittava kaupallinen taho haluaa tutkittavan. Ei-kaupallisissa (tutkijalähtöiset, akateemiset tutkimukset) tutkimuksissa tutkijat voivat itse vaikuttaa saatavilla olevien lääkehoitojen käyttöaiheisiin ja optimoida myös tutkimus- ja hoitokäytäntöjä. Ei-kaupallisilla tutkimuksilla on kuitenkin paljon haasteita, kuten rahoituksen puute, riittämättömät edellytykset akateemiseen yhteistyöhön, tutkimushallinnollisten palveluiden puute, ja usein myös riittämättömästi mahdollisuuksia keskustella tieteellisen tutkimuksen ongelmista ja ratkaista niitä.

### **PedCRIN kehittää lisäkapasiteettia monikansallisten, ei-kaupallisten, lastenlääketutkimusten hallintaan**

PedCRIN:n tavoite on kehittää tutkimukseen tarvittavia työkaluja ja kapasiteettia parantamaan kansainvälisten ei-kaupallisten lastenlääketutkimusten laatua, turvallisuutta, tehoa ja eettisyyttä.

#### **Projektisuunnitelma**

Nelivuotinen PedCRIN-projekti on jaettu viiteen osaan:

- Projektin koordinointi ja toimeenpano
- Liiketoimintasuunnitelma ja hallintorakenne
- Lasten ja vastasyntyneiden lääketutkimuksiin tarkoitettujen työkalujen kehittäminen: tutkimusten metodiikka, (potilaskeskeiset) tulostimet, haittatapahtumien raportointi, biologisten näytteiden hallinnointi, säännösten ja eettisten ohjeiden tietopankki, seuranta, laatu ja sertifiointi
- Toimintatuen jakaminen valituille pilottitutkimuksille
- Kohdennettu viestintä käyttäjille ja poliitikoille tavoitteena potilaiden ja perheiden voimauttaminen.

### **PedCRIN:ssä potilaat ja perheet ovat ensiarvoisen tärkeitä**

Lapset ja heidän perheensä ovat lääketutkimuksissa erittäin tärkeässä asemassa. Heidän kokemuksensa perusteella voidaan selvittää mitkä tulostimet ovat tärkeimpiä, milloin suostumusmateriaali on ymmärrettävää ja mitkä eettiset seikat ovat heille tärkeitä. Heidän asemansa PedCRIN-projektissa on tärkeä ja he tulevat olemaan PedCRIN:n työn keskipisteessä. Potilasjärjestöiltä ja nuorista koostuvilta kokemusasiantuntijaryhmiltä pyydetään palautetta tutkimussuunnitelmista ja heitä kuullaan, kun mietitään lasten, nuorten, vanhempien ja huoltajien roolia monikansallisen lastenlääketutkimuksen järjestämisessä.

Lisätietoa PedCRIN:sta on saatavilla nettisivuiltamme: [www.ecrin.org/activities/pedcrin](http://www.ecrin.org/activities/pedcrin)



PedCRIN on saanut rahoitusta Euroopan unionin Horisontti 2020 -ohjelmasta tukisopimusnumerolla 731046.