

PedCRIN: Infrastrukturentwicklung als Basis für bessere Kindermedikamente

Was ist PedCRIN?

Das pädiatrische klinische Forschungsinfrastrukturnetzwerk (PedCRIN) vereint das Europäische Netzwerk für klinische Forschungsinfrastruktur (ECRIN) und die Gründungspartner der Europäischen Forschungsinfrastruktur für Pädiatrische Klinische Studien (European Paediatric Clinical Trial Research Infrastructure: EPCT-RI), um Kapazitäten für das Management von multinationalen pädiatrischen klinischen Studien zu entwickeln.

PedCRIN ist ein vierjähriges Projekt, das vom Programm Horizon 2020 der Europäischen Union finanziert wird und am 1. Januar 2017 gestartet wurde.

PedCRIN wird Kinderärzte und andere Partner in Europa (und international) effektiv verbinden, um Ressourcen und Fachwissen im Management und in der Durchführung robuster Studien zu kombinieren, um damit Risiko zu minimieren und teilnehmende Kinder zu schützen.

Konsequenzen des Mangels an Arzneimittelprüfungen an Kindern

Viele Arzneimittel wurden bei Kindern nicht ausreichend getestet oder nicht für diese Population zugelassen. Der Mangel an pädiatrischen Medikamentenprüfungen hat mehrere Konsequenzen:

- Nichtverfügbarkeit geeigneter pädiatrischer Formulierungen
- Die verwendeten Medikamente sind oft „off-label“ (Einsatz außerhalb der Zulassung) und manche ohne Lizenz
- Kinder können eine unwirksame Behandlung erhalten
- Kinder können eine ungenaue Medikamentendosierung erhalten
- Warnungen vor möglichen Arzneimittelnebenwirkungen (ADRs) und Nebenwirkungen sind für Arzneimittel, die bei Kindern verwendet werden, unzureichend
- Neue und innovative Medikamente sind mit einer pädiatrischen Indikation verfügbar, aber ohne Hinweis für langfristigen Nutzen und Risiko, z.B. bei biologischen Arzneimitteln

Unterschiede zwischen Kindern und Erwachsenen

Die pädiatrische Population reagiert oft anders auf Arzneimittel und andere Therapeutika als Erwachsene. Kinder unterscheiden sich von Erwachsenen in anatomischer und physiologischer Weise und im Spektrum ihrer Erkrankungen. Darüber hinaus ist die Ausprägung dieser Erkrankungen zwischen Kindern und Erwachsenen unterschiedlich. Kinder können anders auf Arzneimittel reagieren, da diese sowohl über das Potenzial verfügen können, ihr Wachstum und ihre Reifung zu beeinflussen, als auch sie psychosozial zu beeinträchtigen. Es ist auch möglich, dass ein Neugeborenes anders reagiert als ältere Säuglinge und Kinder, und eine einfache Anpassung der Dosierung nicht (immer) das Problem lösen kann. Pädiatrische klinische Studien sind daher wichtig, um sicherzustellen, dass Kinder eine angemessene, sichere und wirksame Behandlung und Pflege erhalten.

Klinische Studien bei Kindern sind anspruchsvoller als jene bei Erwachsenen und die Zahl der geeigneten Kinder für eine Studie ist oft klein. Kinder müssen mindestens die gleichen Rechte wie Erwachsene beim Zugang zu qualitativ hochwertigen und evidenzbasierten Medikamenten und Gesundheitsdienstleistungen haben.

Notwendigkeit für pädiatrische klinische Studien

Pädiatrische klinische Studien weisen einen besonderen Grad an Komplexität auf, da einer Vielzahl von Faktoren Rechnung getragen werden muss. Dazu gehören Sicherheitsbedenken bei der Untersuchung von Arzneimitteln bei Kindern, ethischen Überlegungen, die informierte Einwilligungserklärung, die

geringere Prävalenz von Krankheiten, die Notwendigkeit, verschiedene Altersgruppen zu testen, die Möglichkeit von späten Nebenwirkungen, die Anforderung eine maßgeschneiderten Studiengestaltung und die Notwendigkeit der kindergerechten Arzneimittelformulierungen.

Um eine Verbesserung der medizinischen Versorgung von Kindern zu gewährleisten, sind mehr klinische Studien erforderlich, die sich auf die Aspekte der Kindergesundheit fokussieren, mit dem Ziel, Behandlungen, Medikamente und Geräte, die speziell für Kinder geeignet sind, zu entwickeln.

Pädiatrische klinische Studien sind notwendig, um die Wirksamkeit eines Arzneimittels zu testen, wenn:

- es für Krankheiten geplant ist, die Kinder entweder ausschließlich betreffen oder unterschiedliche Symptome vorliegen und andere Ausprägungen des Krankheitsbildes bei Kindern vorliegen.
- beabsichtigt wird, Krankheiten zu behandeln, für die es derzeit weder bei Erwachsenen noch bei Kindern eine Behandlung gibt.
- für Behandlungsformen einer Erkrankung bei Erwachsenen und Kindern unzureichende Kenntnisse über die Wirksamkeit oder Toxizität einer Behandlung bei Kindern vorliegt.

Nicht-kommerzielle multinationale Studien

Kommerziell gesponserte klinische Studien sind verantwortlich für die Entwicklung neuer Medikamente zur Behandlung diverser Erkrankungen. Betont werden muss, dass in solchen kommerziellen Studien nur jene Aktivität von Substanzen beurteilt wird, die von einer kommerziellen Einrichtung, die den gesamten Prozess finanziert, ausgewählt wurde.

Nicht-kommerzielle oder akademische Studien ermöglichen es Forschern, Hinweise auf verfügbare Behandlungen zu verfeinern und therapeutische Strategien zu optimieren. Allerdings stehen nicht-kommerzielle Studien vor einer zunehmenden Zahl an Herausforderungen, wie dem Mangel an Finanzierung, unzureichender Infrastruktur zur Erleichterung der akademischen Zusammenarbeit sowie einem Mangel an Ansprechpartnern um Fragen im Zusammenhang mit akademischen Studien zu diskutieren und zu lösen.

PedCRIN: Entwicklung von Kapazitäten für das Management von multinationalen pädiatrischen klinischen Studien

Ziel von PedCRIN ist die notwendigen Werkzeuge und Kapazitäten zur Verbesserung der Qualität, Sicherheit, Wirksamkeit und ethischen Standards der multinationalen, nicht-kommerziellen pädiatrischen klinischen Studien zu entwickeln.

Projekt Design

PedCRIN ist ein vierjähriges Projekt mit fünf Arbeitspaketen:

- Projektkoordination und Umsetzung;
- Geschäftsstrategie und Governance-Struktur;
- Entwicklung von speziell auf Bedürfnisse von pädiatrischen und neonatalen Studien abgestimmten Werkzeugen wie Studienmethodik, (patientenorientierte) Ergebnismaßnahmen, der Berichterstattung unerwünschter Ereignisse, dem Management von Proben von Biomaterialien, ethischen und regulatorischen Datenbanken, sowie Monitoring, Qualitätssicherung und Zertifizierung;
- Bereitstellung von operativer Unterstützung für ausgewählte Pilotstudien;
- Kommunikation mit Zielbenutzergemeinschaften und politischen Entscheidungsträgern um Patienten und Eltern mehr Entscheidungsbefugnis zu ermöglichen.



Patienten an erster Stelle

Kinder und ihre Familien spielen in klinischen Studien eine entscheidende Rolle. Auf Basis ihrer persönlichen Erfahrungen können sie aufmerksam machen, welche Faktoren für die Ergebnisse von Bedeutung sind, ob Informationsmaterialien verständlich sind und welche ethischen Aspekte für sie wichtig sind.

In diesem Sinne ist ihre Rolle im PedCRIN-Projekt von wesentlicher und zentraler Bedeutung. Interessensgruppen der Patienten und Beratungsgruppen für Jugendliche und junge Erwachsenen (YPAGs) werden vorgelegte Protokolle kommentieren und die Rolle von Kindern, Jugendlichen, Eltern und den Vertretern des Pflegepersonals bei der Leitung von multinationalen pädiatrischen Studien überprüfen.

Weitere Informationen über PedCRIN finden Sie unter: www.ecriin.org/activities/pedcrin