

## PedCRIN: Verso farmaci pediatrici migliori con lo sviluppo dell'Infrastruttura

### Cosa è PedCRIN?

PedCRIN (Paediatric Clinical Research Infrastructure Network) è una rete europea dedicata alla promozione della ricerca clinica pediatrica che unisce l'Infrastruttura europea per la gestione degli studi clinici ECRIN (European Clinical Research Infrastructure Network) con i soci fondatori dell'Infrastruttura Europea per la ricerca clinica in ambito pediatrico EPCT-RI (European Paediatric Clinical Trial Research Infrastructure) allo scopo di sviluppare le competenze necessarie per la gestione di studi clinici pediatrici multinazionali. PedCRIN è un progetto della durata di quattro anni, finanziato dal programma dell'Unione Europea Horizon 2020, lanciato il 1 gennaio 2017<sup>1</sup>.

PedCRIN farà da ponte in modo efficace tra la comunità pediatrica e altri partners in tutta Europa (e a livello internazionale) per mettere insieme risorse e competenze per condurre e gestire studi in sicurezza, minimizzando i rischi per i bambini che vi prenderanno parte.

### Carenza di farmaci testati in età pediatrica: conseguenze

Molti farmaci usati nei bambini non sono stati adeguatamente testati o autorizzati per l'utilizzo pediatrico. Tale mancanza comporta diverse conseguenze:

- non sono disponibili formulazioni farmaceutiche appropriate per i bambini;
- sono spesso utilizzati farmaci prescritti off-label e privi dell'autorizzazione all'uso pediatrico;
- i bambini potrebbero ricevere trattamenti non efficaci;
- i bambini potrebbero essere trattati con dosi non adeguate;
- le segnalazioni di possibili reazioni ed eventi avversi sono carenti per i farmaci usati in pediatria;
- farmaci nuovi e innovativi con indicazione per l'uso pediatrico sono disponibili, ma non ci sono evidenze circa i loro benefici e rischi a lungo termine, come ad esempio per i farmaci biologici.

### Differenze tra bambini e adulti

La risposta a farmaci o altri tipi di trattamento è diversa nella popolazione pediatrica rispetto a quella adulta. I bambini differiscono dagli adulti da un punto di vista anatomico e fisiologico, ma anche per il tipo di patologie di cui sono affetti; inoltre, le stesse patologie possono indurre manifestazioni cliniche differenti nei bambini rispetto agli adulti. I bambini potrebbero rispondere in maniera diversa a farmaci potenzialmente in grado di agire sui meccanismi di crescita e sviluppo e sulla loro sfera psicosociale. Inoltre, è possibile riscontrare una diversa risposta al farmaco nei neonati rispetto ai bambini di età superiore, che non può essere (sempre) corretta modificando la dose del medicinale usato. Studi clinici pediatrici sono, quindi, di fondamentale importanza per assicurare che i bambini ricevano trattamenti terapeutici e cure appropriate, sicure ed efficaci.

La conduzione di sperimentazioni cliniche è molto più difficoltosa nella popolazione pediatrica rispetto a quella adulta, e la popolazione ammissibile è spesso molto esigua. I bambini devono avere gli stessi diritti degli adulti con riferimento all'assistenza sanitaria e all'accesso a trattamenti di alta qualità e basati su prove di efficacia.

### Necessità di effettuare sperimentazioni cliniche in pediatria

Gli studi clinici pediatrici presentano difficoltà aggiuntive dovute alle preoccupazioni sulla sicurezza nel testare farmaci nei bambini, alle considerazioni di natura etica, al consenso informato, alla bassa prevalenza di malattia, alla necessità di testare il farmaco in diversi gruppi di età, alla possibilità di reazioni avverse tardive, alla necessità di progettare studi su misura con formulazioni farmaceutiche adatte a tale popolazione. Per migliorare le cure mediche pediatriche, sono necessari più studi clinici incentrati sulla

salute dei bambini con lo scopo di sviluppare trattamenti, farmaci, e dispositivi specifici per l'età pediatrica. Studi clinici pediatrici sono necessari per testare l'efficacia dei farmaci:

- per patologie che colpiscono solo i bambini o che presentano sintomi o un decorso diverso nella popolazione pediatrica;
- per trattare patologie che colpiscono sia adulti sia bambini per le quali non esistono trattamenti;
- per trattare patologie che colpiscono sia adulti sia bambini per le quali esistono trattamenti ma non si hanno informazioni adeguate circa la loro efficacia e tossicità nei bambini.

### Studi clinici multinazionali non commerciali

Gli studi clinici sponsorizzati permettono di sviluppare nuovi medicinali per il trattamento di diversi tipi di patologie. Tuttavia è importante sottolineare che questi studi valutano l'attività solo di quei farmaci che sono prescelti da un'industria farmaceutica che ne finanzia l'intero processo di sviluppo.

D'altro canto, gli studi clinici non commerciali o accademici permettono ai ricercatori di perfezionare le indicazioni sui trattamenti disponibili e di ottimizzare le strategie terapeutiche.

Tuttavia, gli studi clinici non commerciali devono affrontare un crescente numero di difficoltà, tra cui la carenza di fondi, inadeguate infrastrutture per facilitare la collaborazione accademica, e la mancanza di piattaforme per facilitare la discussione e la risoluzione dei problemi.

### PedCRIN: sviluppare le capacità per la gestione di studi clinici pediatrici multinazionali

Lo scopo di PedCRIN è quello di sviluppare gli strumenti e le capacità necessarie per incrementare qualità, sicurezza, efficacia e standard etici degli studi clinici pediatrici non commerciali e multinazionali.

#### Descrizione del progetto

Il progetto PedCRIN, di durata quadriennale, si articola in 5 programmi di lavoro:


- Coordinamento e implementazione del progetto;
- Strategia e governance;
- Sviluppo di strumenti specifici per studi pediatrici e neonatali: metodologia degli studi, valutazioni dei risultati (centrati sui pazienti), segnalazione di eventi avversi, gestione dei campioni biologici, database etici e regolatori, monitoraggio, qualità e certificazioni;
- Supporto operativo allo sviluppo multinazionale di studi pilota selezionati;
- Attività di comunicazione rivolta alle comunità di utenti e ai decisori politici con l'obiettivo di rafforzare la consapevolezza dei pazienti e delle loro famiglie.

### Mettere i pazienti al primo posto

I bambini e le loro famiglie giocano un ruolo critico nella conduzione degli studi clinici. Sulla base della loro esperienza personale, i bambini possono indicare quali risultati ritengono essenziali, se il consenso informato risulta comprensibile, e quali aspetti etici sono importanti per loro. Pertanto, il loro ruolo nel progetto PedCRIN è fondamentale e saranno messi al centro del lavoro svolto. I gruppi di sostegno ai pazienti e i gruppi di ascolto dei pazienti pediatrici YPAG (Young People's Advisory Groups) forniranno opinioni e suggerimenti sui protocolli presentati e saranno consultati per identificare il ruolo di bambini, giovani, familiari, assistenti sanitari durante la gestione degli studi pediatrici multinazionali.

Maggiori informazioni su PedCRIN sono disponibili qui: [www.ecriin.org/activities/pedcriin](http://www.ecriin.org/activities/pedcriin)

---

 PedCRIN è stato finanziato dal programma dell'Unione Europea Horizon H2020 con Grant Agreement n° 731046.