

PedCRIN: Naar betere medicijnen voor kinderen door het ontwikkelen van een infrastructuur

Waar staat PedCRIN voor?

Het Paediatric Clinical Research Infrastructure Network (PedCRIN) brengt het European Clinical Research Infrastructure Network (ECRIN) en de oprichters van het European Paediatric Clinical Trial Research Infrastructure (EPCT-RI) samen om capaciteit te creëren voor het managen van multinationale pediatrie klinische studies. PedCRIN, gestart op 1 januari 2017¹, een vierjarig project dat wordt gefinancierd door het Europese Horizon 2020 programma. PedCRIN verbindt kinderartsen en partners in Europa (en daarbuiten). Het bundelt krachten, zodat kwalitatief hoogstaande studies uitgevoerd kunnen worden waarbij het risico voor kinderen wordt beperkt en hun welzijn is beschermd.

Gebrek aan medicijnonderzoek bij kinderen: de consequenties

Veel medicijnen die door kinderen worden gebruikt zijn niet onderzocht en niet goedgekeurd voor gebruik bij kinderen. Dit gebrek aan gedegen medicijnonderzoek bij kinderen heeft consequenties:

- Doseringinformatie voor kinderen ontbreekt bij medicijnen;
- De medicijnen worden vaak off-label en unlicensed (buiten officiële registratie en niet geregistreerd) gebruikt;
- Kinderen krijgen mogelijk ineffectieve therapie;
- Kinderen krijgen misschien niet de juiste dosering;
- Waarschuwingen bij medicijnen voor mogelijke bijwerkingen zijn niet toereikend;
- Nieuwe en innovatieve medicijnen worden wel op kinderen getest en hebben dan een indicatie maar dan nog ontbreekt de informatie over de gevolgen op de lange termijn.

Verschillen tussen kinderen en volwassenen

Kinderen reageren vaak anders op medicijnen en therapeutica dan volwassenen, ze verschillen van volwassenen in hun anatomie, fysiologie en het soort aandoening. Kinderen kunnen anders reageren op medicijnen en die medicijnen kunnen mogelijk van invloed zijn op hun groei en hun psychosociale ontwikkeling. Het is zelfs mogelijk dat neonaten anders reageren op medicijnen dan voldragen baby's of jonge kinderen en het 'gewoon' aanpassen van de dosering lost dat probleem lang niet altijd op. Wetenschappelijk onderzoek bij kinderen is daarom essentieel, om er zeker van te zijn dat kinderen de juiste, effectieve en veilige behandeling en zorg krijgen.

Klinische studies zijn bij kinderen vaak een grotere uitdaging dan bij volwassenen en daar komt bij dat het aantal kinderen dat deel kan nemen aan klinische studies vaak beperkt is. Kinderen moeten echter op zijn minst dezelfde rechten hebben op en toegang tot bewezen therapie en zorg als volwassenen.

Behoeft aan klinische studies bij kinderen

Klinische studies bij kinderen hebben te maken met andere uitdagingen vanwege veiligheid, ethische overwegingen, informed consent, zeldzaamheid van de aandoening, noodzaak om verschillende leeftijdsgroepen te onderzoeken, de mogelijkheid van late bijwerkingen, de noodzaak van op maat gemaakte onderzoeksontwerpen en de behoefte aan juiste kinderdoseringen. Om de zorg voor kinderen te verbeteren zijn er meer klinische studies voor kinderen nodig met als doel het ontwikkelen van therapieën, medicijnen en medische hulpmiddelen voor kinderen. Klinische studies om de werkzaamheid van een medicijn voor kinderen te onderzoeken zijn in ieder geval nodig als:

- Een aandoening alleen bij kinderen voorkomt of als de aandoening zich bij kinderen anders ontwikkelt of andere symptomen veroorzaakt dan bij volwassenen.
- Het tot doel heeft een aandoening te behandelen die bij volwassenen en kinderen voorkomt en op dit moment nog geen behandeling heeft
- Het gaat om aandoeningen die bij kinderen en volwassenen voorkomen, waarvoor een behandeling beschikbaar is, maar waarbij er onvoldoende kennis is over de effectiviteit en toxiciteit bij kinderen.

Niet-commerciële multinationale studies

Farmaceutische bedrijven onderzoeken nieuwe medicijnen en de veiligheid en werkzaamheid voor verschillende groepen patiënten. De veiligheid en werkzaamheid van bestaande middelen die nog niet zijn onderzocht bij kinderen wordt onderzocht door medici zelf, men noemt dit 'niet commercieel'. Deze niet-commerciële studies stellen onderzoekers in staat om de indicatie verder aan te scherpen of de behandeling te optimaliseren. Deze studies hebben echter te maken met een toenemend aantal uitdagingen, zoals een gebrek aan financiering, inadequate infrastructuur voor samenwerking en het gebrek aan fora om problemen aangaande deze studies te adresseren.

PedCRIN: capaciteit ontwikkelen voor het managen van multinationale klinische studies bij kinderen.

Het doel van PedCRIN is het ontwikkelen van hulpmiddelen en capaciteit, waarmee de kwaliteit, veiligheid, effectiviteit en het (per land) naleven van verschillende wettelijke en ethische standaarden wordt vergroot voor multinationale niet-commerciële klinische studies bij kinderen.

Project ontwerp

Het vierjarige PedCRIN project bestaat uit 5 werkpakketten:

- Projectcoördinatie en implementatie
- Bedrijfsplan en organisatiestructuur
- Instrumentenontwikkeling voor pediatrisch en neonataal onderzoek: onderzoeksmethodologie, (patiëntgerichte) uitkomstmaten, bijwerkingenrapportage, beheer van lichaamsmateriaal, een database over ethische standaarden en juridische regels, monitoring, kwaliteit en certificering
- Ondersteuning geven aan enkele pilot trials
- Het informeren van doelgroepen en beleidsmakers en het vergroten van de invloed van patiënten en ouders bij wetenschappelijk onderzoek.

Patiënten op de eerste plaats

Kinderen en hun familie hebben een cruciale rol bij klinisch onderzoek. Zij kunnen aangeven welke uitkomstmaten van belang zijn, of informed consent materiaal begrijpelijk is en welke ethische aspecten voor hen belangrijk zijn. Daarom is hun rol in PedCRIN cruciaal. Patiëntvertegenwoordigers (zoals de Young peoples advisory groups (YPAGs), 'jeugdadviesraden') zullen geconsulteerd worden om de rol en positie te bepalen van kinderen en ouders/vertegenwoordigers tijdens het plannen en uitvoeren van wetenschappelijk onderzoek bij kinderen.

Meer informatie over PedCRIN: www.ecriin.org/activities/pedcrin



PedCRIN has received funding from the European Union's Horizon 2020 programme under grant agreement number 731046.