

PedCRIN: Hacia mejores medicamentos para niños mediante el desarrollo de infraestructuras

¿Qué es PedCRIN?

PedCRIN es una Red de Infraestructuras de Investigación Clínica Pediátrica (el nombre proviene de sus siglas en inglés “Paediatric Clinical Research Infrastructure Network”), que aúna la European Clinical Research Infrastructure Network (ECRIN) y los socios fundadores de la European Paediatric Clinical Trial Research Infrastructure (EPCT-RI) con el objetivo de desarrollar la capacidad de gestión de ensayos clínicos pediátricos multinacionales. PedCRIN es un proyecto de cuatro años que está financiado por la Unión Europea a través del programa Horizon 2020 y que se inició el 1 de enero de 2017.

PedCRIN conectará pediatras y otros socios alrededor de Europa (e internacionalmente) para combinar recursos y experiencia en la realización y gestión de ensayos clínicos que sean robustos, a la vez que se minimiza el riesgo y se protege a los niños participantes.

La falta de investigación en medicamentos para niños: consecuencias

Muchos fármacos no han sido adecuadamente probados en niños o autorizados para ser administrados en esta población. La falta de estudios sobre fármacos para su uso pediátrico tiene diferentes consecuencias:

- Falta de disponibilidad de formulaciones pediátricas adecuadas
- Los medicamentos son utilizados fuera de indicación y autorización
- Los niños pueden llegar a recibir tratamiento inefectivos
- Las dosis pueden ser inadecuadas
- Las alertas sobre posibles reacciones o efectos adversos pueden ser insuficientes en los medicamentos utilizados en niños
- Nuevas e innovadoras medicinas están disponibles con indicación pediátrica, pero sin la evidencia de conocer los beneficios y riesgos a largo plazo. P.e. agentes biológicos.

Diferencias entre niños y adultos

La población pediátrica a menudo responde a los medicamentos u otras opciones terapéuticas de forma diferente en la que lo hacen los adultos. Los niños son diferentes de los adultos a nivel anatómico y fisiológico, así como también en relación con las enfermedades que padecen; además, las manifestaciones de dichas enfermedades también son diferentes entre niños y adultos. Los menores responden de forma diferente a los tratamientos, que además pueden tener un impacto potencial en su crecimiento y maduración, y afectarles psicológicamente. También es posible que un neonato pueda responder diferente que bebés nacidos a término y niños, y simplemente ajustando la dosis no (siempre) se resuelve el problema. Por tanto los ensayos clínicos pediátricos son esenciales para asegurar que el niño recibe el tratamiento y cuidado apropiado, seguro y efectivo.

Los ensayos clínicos pediátricos suponen más retos que los realizados con adultos y la población elegible para los mismos suele ser pequeña. Los niños deben tener como mínimo los mismos derechos que los adultos en relación con el acceso a los medicamentos de alta calidad y basados en la evidencia, y a los servicios de salud.

Necesidad de ensayos clínicos pediátricos

Los ensayos clínicos pediátricos implican nuevas complejidades relacionadas con la preocupación respecto a la seguridad de los fármacos en niños, consideraciones éticas, el consentimiento informado, la baja prevalencia de la enfermedad, la necesidad de estudiar diferentes grupos de edades, la posibilidad de la aparición tardía de los efectos secundarios, diseño de los estudios adaptados a los mismos así como la necesidad de formulaciones adecuadas. Para mejorar la atención clínica de los niños, se necesitan más ensayos clínicos centrados en la salud de los más pequeños con el objetivo de desarrollar tratamientos, medicinas y dispositivos médicos específicos para los mismos. Los ensayos clínicos pediátricos son necesarios para estudiar la eficacia de un producto médico en:

- Enfermedades que afectan solo a niños o que tienen un curso y síntomas diferentes en niños,
- Patologías que afectan a adultos y niños para las que actualmente no hay tratamiento;
- Enfermedades que suceden tanto en adultos como en niños para las cuales existen tratamientos, pero donde no hay conocimiento suficiente de la eficacia y toxicidad en niños.

Ensayos clínicos no comerciales

Los ensayos clínicos comerciales son responsables del desarrollo de nuevos medicamentos que pueden tratar diferentes áreas de enfermedades. Es importante considerar, pese a ello, que en estos ensayos clínicos solo se evalúa la actividad de fármacos escogidos por una empresa que será la encargada de financiar todo el proceso. Los ensayos clínicos no comerciales o académicos permiten a los investigadores afinar las indicaciones de los tratamientos disponibles y optimizar las estrategias terapéuticas.

Sin embargo, los ensayos no comerciales se enfrentan a un número creciente de desafíos, como la falta de financiación, la infraestructura inadecuada para facilitar la colaboración académica y la falta de una plataforma para discutir y resolver las cuestiones relacionadas con los ensayos académicos.

PedCRIN: desarrollando la capacidad para la gestión de ensayos clínicos pediátricos multinacionales

El objetivo de PedCRIN es el desarrollo de las herramientas necesarias y de la capacidad para mejorar la calidad, seguridad, eficacia y estándares éticos de ensayos clínicos no comerciales y multinacionales.

Diseño del proyecto

PedCRIN es un proyecto de cuatro años de duración organizado en cinco paquetes de trabajo:

- Coordinación del proyecto e implementación;
- Estrategia de negocio y estructura de gobierno;
- Desarrollo de herramientas específicas para ensayos clínicos para pacientes neonatos y pediátricos: metodología, medición de resultados (centrados en el paciente), notificación de eventos adversos, gestión de bio-muestras, bases de datos sobre regulación y ética, monitorización, calidad y certificación;
- Ofrecer apoyo operativo a los ensayos piloto seleccionados
- Comunicación dirigida a comunidades de usuarios y legisladores, con el objetivo de empoderar a los pacientes y los padres.

Situar al paciente en el centro

Los niños y sus familias tienen un papel fundamental que desempeñar en los estudios clínicos. En base a su experiencia personal, pueden indicar qué resultados son esenciales medir, cuando el documento de consentimiento informado es comprensible, y qué aspectos éticos son importantes para ellos. Por tanto, su papel en el proyecto es esencial, y se colocarán en el centro del trabajo de PedCRIN. Los grupos de defensa de los pacientes y los grupos de asesoramiento de los jóvenes (YPAG, proviene de sus siglas en inglés “*Young Persons Advisory Groups*”) darán su opinión sobre el protocolo presentado y serán consultados para identificar el papel de los niños, los jóvenes, los padres y los cuidadores durante la gestión de los ensayos pediátricos multinacionales.

Más información sobre PedCRIN: www.ecrin.org/activities/pedcrin



ⁱ PedCRIN ha recibido financiación a través del programa H2020 de la Unión Europea en virtud del acuerdo de subvención con número 731046.