

Bilaga 9. Utvidgade förslag på pilotstudier

Barn och kliniska studier – bakgrund för det föreslagna pilotprojektet (Ernst Omenaas)

Det finns ett betydligt och ökande behov för kliniska prövningar hos barn, primärt med tanke på behandling men även med avseende på nya diagnostiska metoder. I de nordiska länderna utgör andelen personer under 18 år cirka 20 procent av befolkningen. I hela EU med sina 25 medlemsländer motsvarar detta fler än 100 miljoner människor.

Barn är den patientgrupp där läkemedelsbehandlingen är som minst utprövad och kvalitetskontrollerad. Det finns flera orsaker till detta. Studier hos barn har hittills haft låg prioritet för läkemedelsindustrin. Därefter har kliniska utprövningar ofta varit svåra att utföra på barn, dels av etiska skäl, men även för att barnpopulationen är heterogen och patientantalet är litet. Barn är en sårbar grupp som utvecklingsmässigt, fysiologiskt samt psykologiskt skiljer sig från vuxengruppen när det gäller läkemedelseffekter. Detta betyder att läkemedel kan ha annorlunda verkan på spädbarn, små barn samt ungdomar. För att kunna dokumentera ett läkemedels effekt på barn så måste man därför testa läkemedlet på många olika åldersgrupper.

Avsaknaden av kliniska prövningar leder därmed till vidsträckt behandling av barn med icke godkända läkemedel samt godkända läkemedel på icke godkända indikationer. Ungefär 90 procent av läkemedel som ges till nyfödda, cirka 60 procent som ges till barn inlagda på sjukhus och cirka 30 procent som ges till barn i allmänpraxis saknar grundläggande studier på dosering, effektivitet och toxicitet. Avsaknaden av kunskap om läkemedels verkningsprofil hos barn leder till att de inte får lika bra och säker läkemedelsbehandling som vuxna. Bland annat är det större risk för biverkningar hos barn än för vuxna. Det är även en ökad risk för felmedicinering hos barn eftersom de flesta läkemedel inte är marknadsförda som barnformuleringar och att de därmed måste omformuleras och spädas ut innan de kan ges till barn.

Det är en stor paradox att medan tillgängligheten för ny kunskap aldrig har varit så stor som den är nu så är informationen om läkemedel till barn svar att erhålla. Det är stort engagemang i USA och i EU för att rätta upp detta, bland annat genom skapandet av lagar (USA i 2002, EU i 2007) och genom etablering av pediatrika och farmakologiska nätverk (European Network of Paediatric Research, EnprEMA). Den nya lagstiftningen kräver bland annat att studier på barn ska ingå i utvecklingsprocessen av nya läkemedel. Finland är preliminärt det enda nordiska landet som har etablerat ett pediatrikt nätverk för kliniska studier hos barn (FINPED), och Norge arbetar med ett liknande tilltag inom loppet av 2011 (NORPED). Detta betyder att inom loppet av några år kommer kliniska utprövningar

hos barnpopulationen öka i EU och i andra land. Denna utveckling borde vara en god utgångspunkt för ett pilotprojekt bland de nordiska länderna för etableringen av ett samarbete för multicenterstudier inom olika terapiområden för barn och läkemedel.

NorStent-studien (Stig Slördal)

9014 norska patienter är inkluderade i den största randomiserande behandlingsstudien som har genomförts i Norge. Målet med NorStent-studien är att undersöka vilken behandling som fungerar bäst när trånga kransartärer in till hjärtat ska blockeras. I 2002 kom en ny typ av stent, eller armering, som förstärker blodkärlen. Denna innehåller mediciner som ska förhindra ärrbildning, och därmed även tillbakafall, nya symptom samt eventuell hjärtinfarkt. Data från bland annat det svenska hjärtinfarktsregistret (Riks-HIA) gjorde att man började fråga sig om den nya typen av stent eller den konventionella fungerar bäst. Professor Kaare Harald Bønnaa initierade därmed NorStent-studien som kan ge ett slutgiltigt svar på detta. Om det upptäcks att den äldre och billigare stenten är lika bra som den nya så kommer detta att kunna bespara de norska myndigheterna runt 100 miljoner kronor årligen, men inte minst även säkerställa bästa möjliga behandling för patienterna. Hade studien utförts på nordisk nivå hade inkluderingen av 9000 patienter kunnat genomföras på uppskattningsvis 10 månader istället för nuvarande 30 månader. Samtidigt kunde studien ha startats upp tidigare om det hade funnits underlag för nordisk finansiering av denna typ av studie.