

PEDIATRISSET TUTKIMUKSET

NR0 1

HORISONTTI EXTRA

2023



Parempien lääkkeiden kehitys lapsipotilaille on arvovalinta

Lasten kliinisiin lääketutkimuksiin liittyy osittain samat, osittain erilaiset haasteet kuin aikuisten lääkekehitykseen. Lapsipotilaiden lääketutkimuksien kompastuskiviä on pyritty EU:ssa taklaamaan vuonna 2007 asetetulla lastenlääkeasetuksella ja sen myötä perustetuilla kansallisilla ja EU-tason tutkimusverkostoilla.

KUVAT: Stocksy.com



”Lastensairauksiin ei voida vetää suoria johtopäätöksiä aikuisten sairauksista, ja siksi pediatrien lääketutkimus on ainut tapa saada tietoa lääkkeiden tehosta ja turvallisuudesta lapsilla.”

OTTO RAHKONEN

Lapsi ei ole pieni aikuinen – lääkeaineet vaikuttavat eri tavoin lapsen elimistössä kuin aikuisen. Lääkeaineiden vaikutuksen ja annoksen lisäksi lapsilla erityistä huomiota tulee kiinnittää lääkkeen annostelutapaan. Pieni lapsi ei välttämättä pysty nielaisemaan isoa tablettia.

Kliinisiä lääketutkimuksia tehdään Euroopassa tällä hetkellä noin 3500–4000 kappaletta vuosittain, ja lastenlääketutkimusten osuus näistä on noin 10 prosenttia. Suomessa uusia lastenlääketutkimuksia rekisteröidään Fimealle noin 20–30 kappaletta, mikä on suurin piirtein Pohjoismaiden keskiarvoa. Määrä ei ole kuitenkaan suuri, ja monet hankkeista ovat viivästyneet tutkimusrahoitusongelmien, tutkimushenkilöstön resurssipuutteiden ja osittain myös tutkimuspotilaiden löytämiseen liittyvien haasteiden vuoksi.

Tutkimus voi todistaa saman lääkkeen tehon niin aikuisilla kuin lapsilla

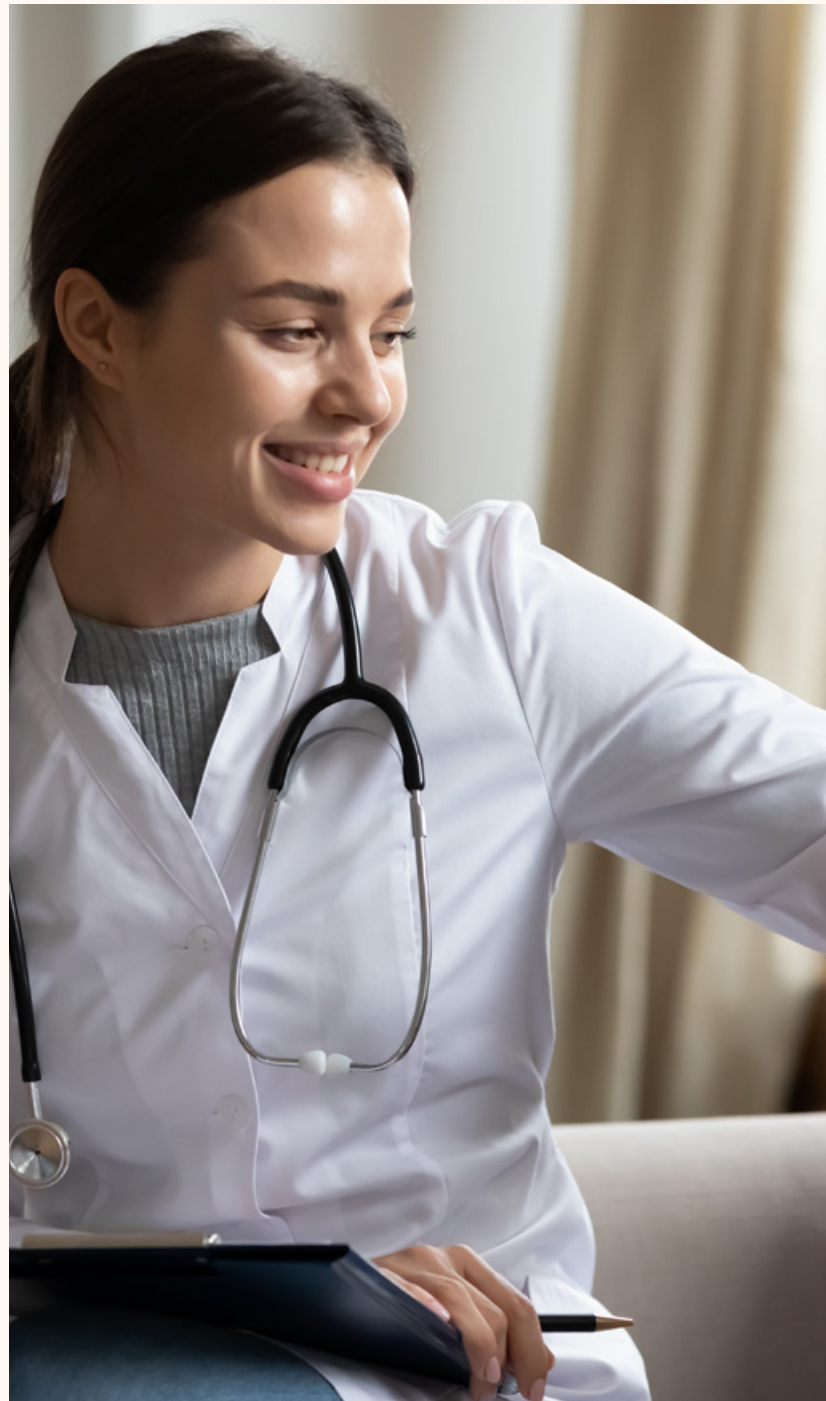
Aikuisilla käytössä olevien, turvalliseksi todettujen lääkkeiden käyttöaiheesta lapsille tarvitaan yhä enemmän tutkittua tietoa, painottaa lasten sydänlääkäri **OTTO RAHKONEN** HUS:sta. ”Lapsilla käytetään paljon lääkkeitä, joista ei ole tehokkuuden osalta tarpeeksi tutkittua tietoa. Lastensairauksiin ei voida vetää suoria johtopäätöksiä aikuisten sairauksista, ja siksi pediatrien lääketutkimus on ainut tapa saada tietoa lääkkeiden tehosta ja turvallisuudesta lapsilla”, Rahkonen alleviivaa.

Rahkonen on itse ollut päätutkijana HUS:n hankkeessa, joka käsittelee aikuispotilaiden käytössä olevan antikoagulanttien tehoa ja turvallisuutta lapsilla.

”Jos tutkimuksen avulla saadaan lapsille tulevaisuudessa parempia ja tehokkaampia hoitoja, maksaa tutkimus itsensä moninkertaisesti takaisin. Tällä hetkellä kliiniseen lääketutkimukseen kohdistuvat resurssi- ja rahoitusongelmat heijastuvat myös lastenlääketutkimukseen”, Rahkonen sanoo.

Motivaationa parempi hoito niin nyt, kuin tulevaisuudessakin lapsipotilaille

Valtakunnallisessa synnynnäisesti sydänvikaisten ja perinnöllistä sydänsairautta sairastavien potilasjärjestössä, Sydänlapset ja aikuiset ry:ssä, työskentelevä **KATJA LAINE** on tarkastellut lasten sydänsairauksia peräti kahdesta eri näkökulmasta. Hän on sekä yhdistyksen toiminnanjohtaja, mutta myös sydänsairaana lapsen äiti.



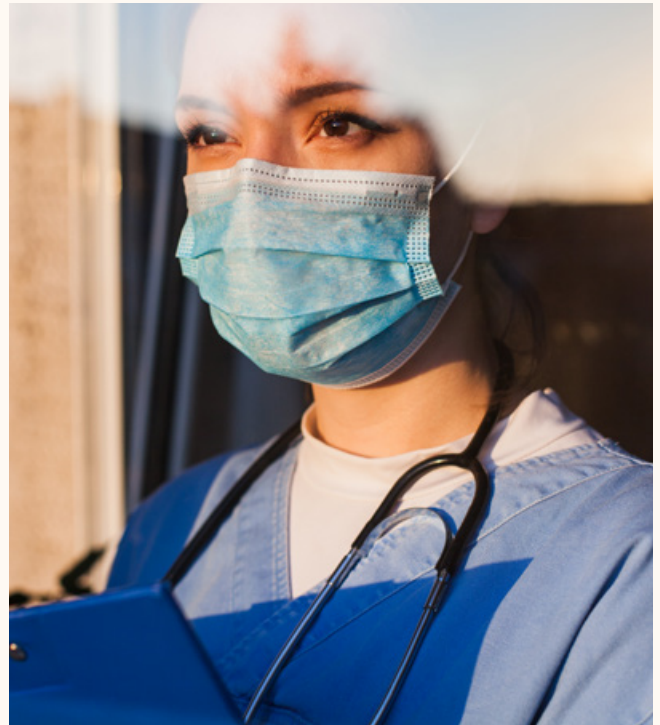
”Motivaattorina osallistumiselle on, että jos ei siitä saada parempaa hoitoa itselle tai omalle lapselle, niin sellainen saadaan tuleville potilassukupolville.”

KATJA LAINE



Sydänlapset ja aikuiset ry edistää sydänsairaiden lasten lääkeshoidon kehittämistä antamalla lausuntoja tutkimushankkeisiin, mutta ennen kaikkea välittämällä tietoa kliinisistä tutkimuksista jäsenilleen ja muille sidosryhmilleen. Yhdistyksen toimintaan kuuluu vahvasti myös vertaistuki, jonka piirissä potilaat ja heidän läheisensä käyvät ahkeraa keskustelua uusista lääkkeistä ja niihin liittyvistä tutkimuksista.

Vaikka tutkimuksiin osallistumiseen liittyy aina myös riskejä, Laineen mukaan enemmistö potilaista suhtautuu klinisiin kokeisiin erittäin myönteisesti. ”Ovathan lääkkeet suurimmassa tapauksessa todettu aiemmin täysin turvalliseksi aikuisilla, jonka jälkeen niitä on porrasteisesti tutkittu yhä nuoremmilla ja nuoremmilla ikäryhmillä. Motivaattorina osallistumiselle on, että jos ei siitä saada parempaa hoitoa itselle tai omalle lapselle, niin sellainen saadaan tuleville potilassukupolville”, Laine sanoo.





Laine on todistanut lääkekehityksen valtavaa merkitystä oman sydänsairaalan lapsensa hoidossa ja potilaita pitkään yhdistystoiminnan kautta sivusta seuraamalla. ”Kun miettii, kuinka paljon lasten lääkkeet ovat kehittyneet siitä, kun oma lapseni sai diagnoosin 25 vuotta sitten, on se aivan uskomatonta. Uusilla lääkkeillä pystytään vaikuttamaan valtavasti lapsen ja koko perheen elämänlaatuun ja saada merkittävästi parempia hoitotuloksia”, Laine korostaa.

Joka toiselle lapselle virallisesta käyttöaiheesta poikkeavaa lääkettä

Myös Bristol Myers Squibbin lääketieteellinen johtaja **PIA ANNUNEN** ajattelee, että lasten lääkekehitys jää tällä hetkellä pahasti jalkoihin, siinä missä muunkin kliinisen tutkimuksen edellytykset Euroopassa heikentyvät. Annunen on toiminut Fimealla Suomen toisena edustajana Euroopan lastenlääkekomiteassa ja syventynyt pediatriseen tutkimukseen näköalapaikalta.

”Lapsista joka toinen saa off-label-lääkkeitä, vastasyntyneistä jopa 90 prosenttia. Aikuisilla sama prosenttiluku on 1. Olisi todella merkittävää, että lääkkeiden tehoa ja turvallisuutta tutkittaisiin yhä enemmän myös lapsilla. Terveystieteiden tutkimusta ylipäätään, mutta lapset jäävät tässäkin erityisen

huonoon asemaan”, Annunen toteaa.

Osittain syynä on pieni potilasmäärä, mistä syystä tutkimuksia ei välttämättä nähdä tutkimussairaaloiden ja rahoittajien silmissä niin tärkeinä tai taloudellisesti kannattavina kuin isojen potilasmäärien tutkimusten. Pienemmän potilasmäärän lisäksi tutkimukset ovat usein kalliimpia, sillä ne toteutetaan yleensä kansainvälisinä monikeskustutkimuksina.

Vaikka suomalaisten lapsipotilaat ja heidän perheensä suhtautuvat keskimäärin hyvin myönteisesti kliinisiin tutkimuksiin, näin ei ole välttämättä kaikkialla Euroopassa, kertoo kansallisen lastenlääketutkimusverkoston toiminnanjohtaja, HUS:n kehittämisspäällikkö **PIRKKO LEPOLA**.

”Lastenlääketutkimuksiin liittyy laillisia ja eettisiä rajoitteita, kun on kyse alaikäisistä. Jokaisella EU-maalla on oma lainsäädäntönsä ja eettiset käsityksensä, miten lastenlääketutkimusta voidaan tehdä ja kulttuurierot vaikuttavat tutkimukseen suhtautumiseen”, Lepola huomauttaa.

Tietoa lastenlääketutkimuksista keskitettyssä palvelujärjestelmässä

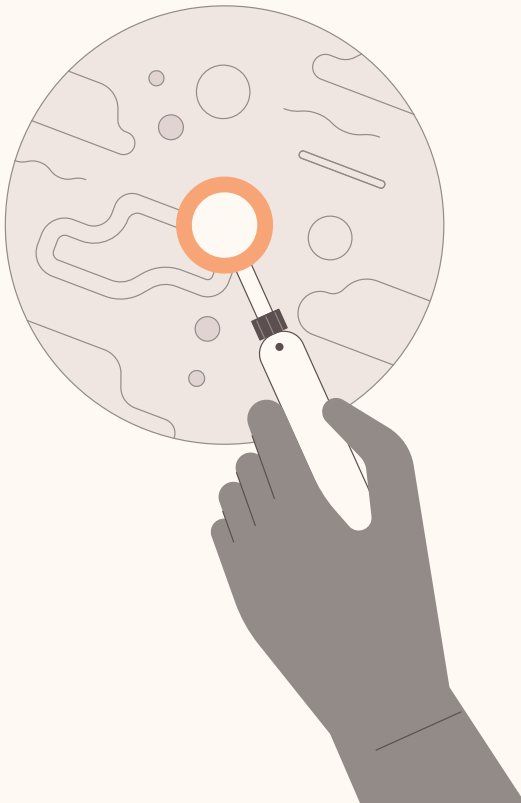
Vuonna 2007 EU:ssa voimaan tulleen lastenlääkeasetuksen tavoitteena on lastenlääkekehityksen ja lapsille suunnattujen

lääkkeiden saatavuuden parantaminen. Asetuksen liittyvät direktiivit velvoittavat jäsenmaat konkreettisiin toimiin lastenlääkekehityksen parantamiseksi.

Sen myötä on rakennettu pediatriseen lääkekehitykseen keskittyvä EU-portaali, jolla pyritään vähentämään pediatriseen lääketutkimukseen liittyviä eroja eri maiden välillä. ”EU-portaalissa tutkimushankkeet keskitetään yhteen paikkaan, mikä helpottaa ja nopeuttaa lastenlääketutkimusten eettistä arviointia. Siten pystytään vähentämään tutkimusten eriaikaisuutta ja saamaan tutkimuslupia nopeammin”, Lepola kertoo.

Lääkeasetuksen voimaantulon jälkeen Lepola perusti kansallisen lääketutkimusverkosto FINPEDMED:in, joka kokoaa pediatriksen alan tutkijat, sairaalat, lääketeollisuuden toimijat ja potilaat yhteen. Sen kautta teollisuus voi tehdä tutkijoille palvelupyynnöitä.

Alusta asti kyse on ollut ohuella organisaatiolla toimivasta, pienirahoitteisesta toiminnasta, joka kuitenkin on edistänyt viestin kulkemista pediatriksen tutkimuksen eri osapuolien välillä runsaasti.



Tutkimusverkostot parantavat tutkimuksen teon edellytyksiä

FINPEDMED:in, ja sen jatkeena tulleen Pohjoismaisen vastaavan lääketutkimusverkosto Nordic PEDMED:in ohella, merkittävänä kehitysasteena pediatriksen tutkimuksen edistämiseksi Lepola mainitsee myös eurooppalaisen Conect4children (C4C) -verkoston.

”Tällä hankkeella on suhteellisen iso budjetti, joka mahdollistaa hankkeen tavoitteiden tehokkaan edistämisen. Pää tavoite on keskittää pediatria tutkimushankkeita Euroopassa. Hankkeessa rakennetaan parhaillaan yhtenäisiä toimintamalleja, kehitetään lainsäädännöllisiä apukeinoja, sopimusharmonisointia ja ohjeistusta”, Lepola kertoo C4C-verkoston toiminnasta.

Uusien lainsäädäntömuutosten myötä Lepola näkee lastenlääkekehityksessä siis myös lupaavia kehityskaaria. Silti työtä on yhä paljon tehtävänä, jotta uusia innovatiivisia lääkkeitä saadaan entistä enemmän myös lasten käyttöön ja vanhojen hoitojen tehosta ja turvallisuudesta saadaan entistä luotettavampaa tietoa.

Parempi lääkkeiden kehitys lapsille on niin Otto Rahkonen, Katja Laineen, Pia Annusen ja Pirkko Lepolan mukaan myös arvovalinta. Vahva uskomus on, että jos Suomessa tutkimuksen teon edellytyksiä parannettaisiin, ei lastenlääkekehitystyö jäisi myöskään tutkijoiden kiinnostuksesta tai tutkimuspotilaiden puutteesta kiinni. ”Lapsilla esiintyvät sairaudet alkavat monesti jo hyvin pienestä ja kulkevat mukana koko ihmisen elämänkaaren, eli sillä on vaikutus koko elämänlaatuun”, he huomauttavat.

Työtä tutkimuksen edellytysten parantamiseksi on Suomessa ja EU-tasolla vielä paljon tehtävänä. Tutkimuksen rahoituksen määrärahojen heikkeneminen, osittain heikot tutkimusresurssit ja vielä kehitystä vaativa tutkimusinfrastruktuuri eivät tutkimuksen edellytyksiä paranna. Aina kun uusi hoito saadaan lasten käyttöön tai uusi potilas tai oire saadaan hoidon piiriin, konkretisoituu, miksi työ tutkimuksen parissa ei tule ikinä valmiiksi.