



Arzneimittelforschung mit Kindern

Dr. Siegfried Throm

vfa / Geschäftsführer Forschung/Entwicklung/Innovation

21. September 2011

vfa. Die forschenden
Pharma-Unternehmen
Research-Based
Pharmaceutical Companies

Kinderzulassungen 2010/2011

Beispiele für Anwendungsgebiete:

- Hirnhautentzündung (Impfstoff)
- HIV-Infektion
- erhöhte Cholesterinwerte
- Bluthochdruck
- Reisedurchfall
- Morbus Gaucher (seltene Erbkrankheit)
- Vorbereitung Stammzelltransplantation
- rheumatoide Arthritis
- Lungenhochdruck
- Angioödeme
- Epilepsie

Quelle: www.vfa.de/kinder

Arbeitsergebnisse des Paediatric Committee¹ (Sept. 2011)

▪ Bestätigungen: PIP ² durchgeführt:	27
▪ Genehmigungen von PIPs:	484
▪ Genehmigte Änderungen von PIPs	277
▪ Freistellungen von PIPs	215

1 Paediatric Committee: Ausschuss für Kinderarzneimittel bei der Europäischen Zulassungsagentur
http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news_and_events/document_listing/document_listing_000192.jsp&murl=menus/about_us/about_us.jsp&mid=WC0b01ac0580028eab

2 PIP: Kinderentwicklungsprogramm

Beispiel für Kinderentwicklungsprogramm (PIP)

- Wirkstoff: **Denosumab**; muss gespritzt werden
- Komplette Freistellung von PIPs für:
 - Knochenverlust bei Geschlechtshormon-Entzugstherapien (z. B. bei Prostatakrebs)
 - Rheumatoide Arthritis
- Teilweise Freistellung für:
 - Juvenile Arthritis (ab Geburt bis 4 Jahre)
 - Große Knochenzelltumoren (bis 12 Jahre)

Quelle:

http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/landing/pip_search.jsp&murl=menus/medicines/medicines.jsp&mid=WC0b01ac058001d129

Beispiel für Kinderentwicklungsprogramm

Durchzuführende Studien (Laufzeit des Programms bis 2034) :

Verhütung von Komplikationen bei Knochenmetastasen (ab Geburt):

- Anpassung der Spritze an das jeweilige Kindesalter
- 6 nicht-klinische Studien
- 2 klinische Studien

Juvenile Arthritis (4 bis 18 Jahre):

- Anpassung der Spritze an das jeweilige Kindesalter
- 4 nicht-klinische Studien
- 4 klinische Studien (je 2 für 4 - 12 Jahre und 12 -18 Jahre)

Große Knochenzelltumoren (12 -18 Jahre):

Anpassung der Spritze an das jeweilige Kindesalter

- 4 nicht-klinische Studie
- 1 klinische Studie

Quelle: vgl. Folie 4