

Editorial

ENSAYOS CLÍNICOS EN NIÑOS: LA NECESIDAD CREA EL MÉTODO

Nos guste o no, el ensayo clínico es una de las armas actuales más utilizadas para asegurar la tolerancia y eficacia de un tratamiento farmacológico en una determinada indicación. Aunque los expertos saben muy bien que se trata del método menos malo, lo cierto es que un ensayo clínico bien diseñado y sobre todo bien ejecutado, puede en ocasiones ser suficiente para aprobar la utilización de ese fármaco objeto de estudio por parte de cualquier agencia de control.

Desde que en 1937 Sir Austin Bradford Hill definiera al ensayo clínico como “un experimento, cuidadosa y éticamente diseñado, con el fin de contestar a unas preguntas concretas formuladas previamente” éste ha sido el método más utilizado hasta hoy para evaluar los efectos de un medicamento sobre el ser humano.

Una vez que el concepto está bien claro, se nos hace imprescindible responder a la siguiente pregunta: ¿puede aceptarse la realización de ensayos clínicos en niños al igual que se hace en los adultos? Creemos que la respuesta es: sí.

Desde septiembre de 1998 el Grupo Español de Farmacia Pediátrica (GEFP), integrado en la SEFH, trabaja para promover una mejora en la calidad asistencial al paciente pediátrico a través de la especialización del profesional farmacéutico en el estudio y debate de la problemática específica de este tipo de pacientes. El GEFP tiene como primer objetivo general “determinar los problemas que afectan a la población pediátrica en relación al uso de medicamentos. Las dificultades pueden estar relacionadas con muchas causas de las que se pueden destacar algunas como la no indicación en pediatría, la falta de dosificaciones pediátricas adecuadas, ausencia de presentaciones orales ad hoc, inseguridad de la biodisponibilidad de preparaciones magistrales propias y las procedentes de la industria farmacéutica.” Desde su creación, el GEFP trabaja para “priorizar soluciones a los problemas encontrados, determinando cuáles pueden ser razonablemente

resueltos por los propios Servicios de Farmacia y cuáles deben ser fruto de una adecuada colaboración con la industria farmacéutica.”

Obviamente, una de las soluciones que el GEFP contempla en determinados problemas es la realización de ensayos clínicos. No entraremos en consideraciones metodológicas, éticas o técnicas sobre cómo deben llevarse a cabo estos estudios en población pediátrica. Lo que debemos tener muy claro es que los niños se consideran un grupo de riesgo en investigación clínica y que en la mayoría de ocasiones no es posible extrapolar datos obtenidos en ensayos clínicos realizados en adultos.

Una vez hemos detectado que es necesario realizar un ensayo clínico en niños, se nos presenta ante nosotros una pista plagada de obstáculos, que lamentablemente en muchas ocasiones nos lleva a abandonar nuestra participación en la carrera. Todos sabemos que es la industria farmacéutica la que actúa como promotor en la mayoría de los ensayos con medicamentos realizados en los adultos, debido tanto a su fortaleza en los medios que puede dedicar a los mismos, como a su poder en sufragar los gastos que todo ensayo clínico puede derivar. ¿Qué hacer cuando un ensayo clínico no es considerado “apropiado” desde el punto de vista de un laboratorio farmacéutico? ¿Qué organismo oficial o no, de prestigio reconocido, puede hacer que se matice esta consideración consiguiendo que se reoriente el proyecto? ¿Cómo puede el farmacéutico clínico pediátrico contribuir a que los niños no sean considerados “huérfanos terapéuticos” en muchos de los tratamientos farmacológicos actuales?

Una solución que el GEFP ha adoptado en sus años de funcionamiento es la de intentar actuar como promotor científico en los ensayos, dejando siempre el papel de promotor económico al laboratorio fabricante del medicamento que deseamos ensayar. De este modo, conseguimos liderar el proyecto en la parte en la que tenemos más para aportar. Pero para que esto se pueda llevar a cabo, se hace necesaria una fase previa de selección y priorización de qué medicamentos se van a proponer para su estudio y de la población diana (dentro del gran abanico que abarca la Pediatría) a quien se va a dirigir el ensayo. Una vez decidido qué fármaco quiere -

mos ensayar y sobre qué grupo de pacientes creemos que es beneficioso realizar el estudio, falta que una buena “gestión política” lleve el proyecto a buen fin.

Todo esto es lo que, entre otras actuaciones, el GEFP está llevando a cabo desde hace tiempo, y estamos en situación de anunciar que se está trabajando en el borrador del primer ensayo clínico que se va a realizar en España en niños, promovido por el GEFP. Este proyecto ha sido ya aceptado por el laboratorio que fabrica el medicamento destinado a pacientes adultos, y que ha aceptado actuar como promotor económico, siendo la SEFH a través del GEFP el promotor científico del mismo. Obviamente, por razones de secreto profesional todavía no podemos anunciar qué fármaco va a ser objeto de estudio ni en qué patología.

El GEFP ya ha dado el primer paso. Quizás un paso “poco importante para nosotros pero muy importante para los niños”, pues iniciamos la carrera en descenso, sin posibilidad de retorno, y con la intención de dejar a los niños un mundo mejor que el que nosotros recibimos de nuestros mayores, aportando además algo que no les podemos negar, la esperanza.

Eduard Hidalgo Albert
Secretario Grupo Español de Farmacia Pediátrica.
Hospital Vall d'Hebron. Área Materno-Infantil. Barcelona