

Una guía contribuirá a impulsar y mejorar la participación de pacientes pediátricos en la investigación de medicamentos

El documento ha sido elaborado por Farmaindustria, el Hospital Sant Joan de Déu, la Red Española de Ensayos Clínicos Pediátricos (RECLIP) y la Asociación Española de Pediatría (AEP)

Se trata de una iniciativa pionera en el contexto europeo y supone un paso más para consolidar el papel protagonista de España en la investigación clínica

Barcelona, 14 de octubre de 2021.- El Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona ha acogido este jueves la presentación del *Documento de recomendaciones para la articulación de la participación de pacientes pediátricos en el proceso de la I+D de medicamentos*, cuyo objetivo es lograr más y mejor implicación de niños y adolescentes y sus familias en la investigación de nuevos tratamientos específicamente dirigidos a la población pediátrica.

Este documento es una guía para investigadores, Administración sanitaria, compañías farmacéuticas y pacientes y sus familias que pueda contribuir a asegurar que el proceso de investigación de nuevos medicamentos pediátricos esté centrado en este perfil de pacientes y sustentado en la estrecha relación con ellos.

La guía es el resultado de un grupo de trabajo organizado por Farmaindustria en el que han participado representantes del Hospital de Sant Joan de Déu de Barcelona (grupo Kids Barcelona y un grupo de padres), la Red Española de Ensayos Clínicos Pediátricos (RECLIP) y la Asociación Española de Pediatría (AEP). Asimismo, ha sido validada por más de 60 organizaciones de pacientes, sociedades científicas, centros hospitalarios y compañías farmacéuticas y cuenta con el visto bueno de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), organismo responsable de la regulación de ensayos clínicos.

El punto de partida de este trabajo han sido los pilares estratégicos definidos en una [guía dirigida a la participación del paciente adulto](#), también coordinada por Farmaindustria y realizada con la colaboración de organizaciones de pacientes y compañías farmacéuticas, que se presentó en mayo de 2020. Esta base ha permitido elaborar “un documento único en el contexto europeo que tiene como objetivo ofrecer unas recomendaciones compartidas por los diferentes agentes que aseguren un proceso de I+D de la industria farmacéutica centrado en el paciente pediátrico”, ha explicado Begonya Nafría, coordinadora del Área de Participación de Pacientes en Investigación del Hospital Sant Joan de Déu.

“La única forma de llevar a cabo ensayos clínicos centrados en las necesidades del paciente pediátrico -ha dicho la experta- es involucrando a pacientes y familias. Su rol ayudando desde las fases más tempranas, cuando se diseña el protocolo de investigación, es de inestimable valor. La guía que hoy presentamos reconoce el derecho de los menores a tener voz activa en las diferentes fases de un ensayo clínico, y ofrece recomendaciones para que los diferentes agentes implicados puedan incorporar la perspectiva del paciente y de su familia. En el Hospital Sant Joan de Déu llevamos más de 7 años promoviendo la investigación centrada en el paciente. Se puede involucrar al paciente pediátrico en un ensayo, solo es cuestión de hacerlo posible”.

Las entidades impulsoras del documento comparten esa necesidad de involucrar a los pacientes que participarán en ensayos clínicos y sus cuidadores en todo el proceso investigador, porque asegurará una mejor experiencia y contribuirá a orientar aún más la investigación a las necesidades de los pacientes, lo que repercutirá en la calidad de la investigación. Además, estamos ante un panorama esperanzador en cuanto al número de estudios y desarrollos en fases primeras en humanos, pero sobre todo en cuanto a tratamientos innovadores. Condiciones de salud que sólo afectan a niños y que carecían de cualquier oportunidad terapéutica tienen por primera vez en investigación más de un potencial tratamiento.

“Los pacientes son la razón de ser de la industria farmacéutica -ha declarado Javier Urzay, subdirector general de Farmaindustria-. Nuestro objetivo es investigar y desarrollar nuevos medicamentos que ayuden a combatir las enfermedades. Son ellos, y los profesionales sanitarios que los atienden, los que mejor saben las necesidades que tienen al afrontar su enfermedad y cómo responden los tratamientos ya existentes, por eso debemos escuchar a los pacientes para saber lo que realmente necesitan y tratar de responder a sus demandas”. “Su experiencia es crítica -ha añadido-, y por eso deben formar parte del proceso de los ensayos clínicos desde el diseño de estos estudios hasta su cierre. Es la única vía para seguir mejorando el proceso de investigación y un catalizador para que España siga siendo un referente mundial en investigación clínica”.

Urzay ha recordado, además, que la investigación pediátrica está experimentando un notable incremento. En los últimos 5 años, España ha registrado más de 500 ensayos clínicos (un 15% del total) dirigidos a población pediátrica, el 87% de ellos promovidos por la industria farmacéutica. Entre las áreas terapéuticas están oncología, vacunas, enfermedades infecciosas, hematología, dermatología y patologías respiratorias.

Federico Martinón, jefe de Servicio de Pediatría del Hospital Clínico Universitario de Santiago y coordinador de RECLIP, entiende que “iniciativas como esta guía promueven la investigación de calidad y adaptada a las necesidades específicas del niño, sin perder el objetivo fundamental de priorizar la investigación en la edad pediátrica, porque necesitamos tener más y mejores medicamentos, y antes o al mismo tiempo que en los adultos”. “Más que nunca -ha subrayado-, en el mundo *Covid-céntrico* que vivimos, que ha postergado aún más a los niños en la carrera de investigación de medicamentos en favor de los adultos, toda iniciativa que, como esta guía, prioriza al niño, es necesaria y bienvenida”.

“En estos últimos años, vamos hacia un cambio de modelo donde el paciente con enfermedad crónica y la terapia dirigida han adquirido gran relevancia. Por ello, la necesidad de un mayor conocimiento en el manejo de fármacos innovadores ha hecho imprescindible la puesta en marcha de ensayos clínicos pediátricos en primera línea, incluso -dependiendo de cada situación- por delante de los adultos. Ello nos ha dado la oportunidad de disponer de fármacos seguros y eficaces adaptados a las necesidades de cada paciente según la edad y la enfermedad”, ha reflexionado Inmaculada Calvo, jefe de la Unidad de Reumatología Pediátrica del Hospital Universitario La Fe (Valencia) y representante de la Asociación Española de Pediatría (AEP);

Un documento hecho por y para los pacientes pediátricos

Un elemento clave de esta guía es que su contenido ha sido diseñado con pacientes pediátricos, padres y asociaciones de pacientes, por lo que el acto de presentación también

ha contado con la participación de Manuel Corchado, padre de paciente pediátrico y miembro de la Fundación Atrofia Muscular Espinal España (Fundame), y Nora Navarro, paciente pediátrico.

“La participación en el ensayo de un medicamento experimental conlleva miedos y dudas. Sin embargo, cuando se trata de niños con enfermedades altamente discapacitantes dicha participación se toma como una oportunidad, una esperanza y una ilusión de tener una mayor calidad de vida. Pero no hay que olvidar que son niños: lloran como otros de su edad, están cansados, se aburren, quieren jugar, no entienden tantas visitas al médico y al hospital... Por lo que hay que intentar que el proceso le permita llevar una vida de niño”, ha afirmado Corchado.

“Como paciente participante en un ensayo clínico y miembro activo del Consejo Científico Kids Barcelona, confiamos en que esta guía suponga una nueva forma de hacer investigación en la que la voz de los niños y de nuestras familias sea considerada para el diseño de ensayos clínicos realmente centrados en los pacientes. Los menores no somos adultos pequeños y merecemos las mismas oportunidades de participación. Para mí y para el resto de chicos y chicas de Kids Barcelona ha sido un verdadero placer formar parte del proyecto de co-creación del documento”, ha apostillado Navarro.

El *Documento de recomendaciones para la articulación de la participación de pacientes pediátricos en el proceso de la I+D de medicamentos* está disponible en [este enlace](#) y contará en breve con una versión en inglés.

Para más información

Correo electrónico: fjfernandez@farmaindustria.es | rgarciadelrio@farmaindustria.es | avigario@farmaindustria.es

Teléfono: 915 159 350