

# INVESTIGACIÓN Y USO COMPASIVO EN PEDIATRÍA

GEFP



# INTRODUCCIÓN

El crecimiento y desarrollo constante marca las especiales características del uso de medicamentos en niños



1. Los medicamentos pueden **alterar/detener/retrasar** el crecimiento en la infancia
2. Los rápidos cambios de **masa, forma y composición** corporales son un desafío para conseguir una dosificación adecuada, pudiendo en muchos casos infradosificar, y en otros muchos, sobredosificar

# INTRODUCCIÓN

## ... especiales características del uso de medicamentos en niños (II)

3. Existen pocos o muy limitados datos de las RA de los EC en niños... muchas veces **infracuantificados** por su difícil captura: lenguaje, atención...
4. Ciertas RA sólo se observan en la infancia por la maduración, crecimiento y desarrollo:
  - Tienen distintas FK y FD → especialmente vulnerable a las interacciones
  - Los niños son especialmente susceptibles a ciertos excipientes

# INTRODUCCIÓN

GEFP

| Excipiente        | Uso           | Observaciones   |
|-------------------|---------------|---|
| Propilenglicol    | Solubilizante | No en neonatos ni prematuros<br>Convulsiones por vía oral<br>Arritmias, acidosis metabólica e hiperosmolaridad por vía parenteral |
| Etanol            | Solubilizante | No en neonatos ni prematuros  |
| Sacarosa          | Edulcorante   | Puede producir caries   |
| Sorbitol          | Edulcorante   | Puede producir diarrea osmótica   |
| Glicerol          | Edulcorante   | Puede producir dolor de cabeza, molestias gastrointestinales y diarrea  |
| Alcohol bencílico | Conservador   | No en neonatos ni prematuros<br>En inyectable produce gasping<br>Produce acidosis metabólica y dificultad respiratoria            |
| Parabenzoatos     | Conservador   | No en neonatos ni prematuros<br>Producen hiperbilirrubinemia e hipersensibilidad  |
| Ácido bórico      | Conservador   | En colirios produce queratitis  |
| Benzoato sódico   | Conservador   | Irritante de piel y mucosas<br>Aumenta el riesgo de ictericia en recién nacidos<br>Produce kernicterus                            |
| Almidón           | Disgregante   | Ojo en pacientes celíacos o alérgicos<br>Declarar la cantidad de almidón si supera las 20ppm                                      |
| Macrogol          | Emulgente     | En pomadas produce insuficiencia renal  |

# INTRODUCCIÓN

## ... especiales características del uso de medicamentos en niños (III)

4. Ciertas RA sólo se observan en la infancia por la maduración, crecimiento y desarrollo:

- Existen RA que aparecen a largo plazo (periodos de latencia largos) y que precisarían para su detección periodos de seguimiento prolongados (problemas músculo-esqueléticos, del comportamiento, del aparato reproductor, sistema inmune y madurez intelectual)
- Pueden aparecer efectos permanentes en el caso de exposiciones durante la “ventana crítica”
- Mayor duración de la exposición para ttos. crónicos

# INTRODUCCIÓN

Complicaciones relacionadas con el uso de fármacos en la edad pediátrica:

1. Se utilizan fuera de las indicaciones autorizadas en el 50-60% de los casos
2. No existe información adecuada respecto a su uso en niños ni en FT ni en Prospectos
3. No existen formulaciones galénicas apropiadas para la población pediátrica

# INTRODUCCIÓN

Complicaciones relacionadas con el uso de fármacos en la edad pediátrica (II):

4. No existen datos pediátricos respecto a:

o Farmacocinética

o Eficacia

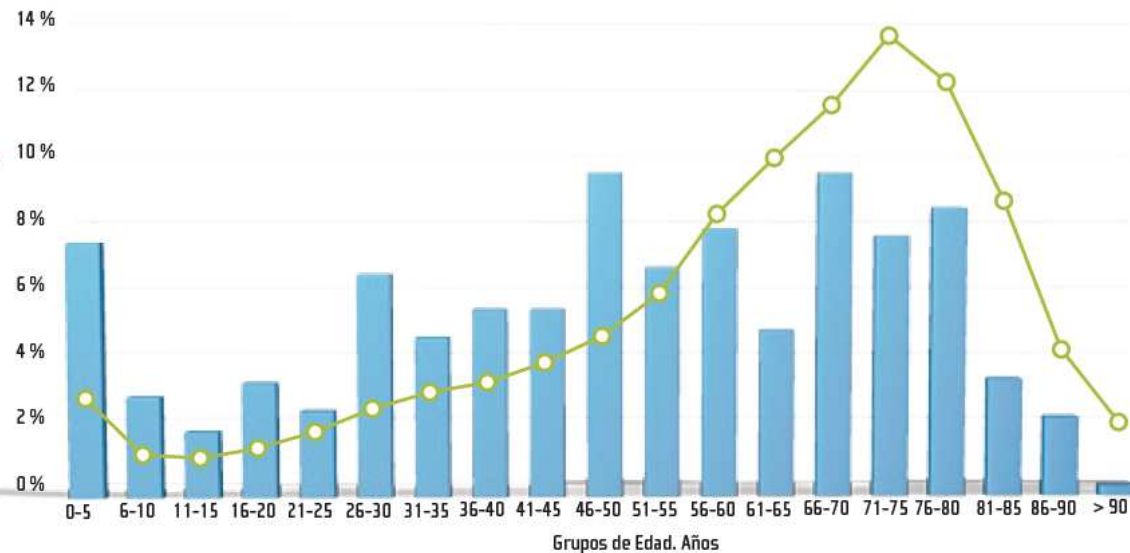
o Seguridad

→ los niños son especialmente sensibles

## Comunicación de errores en función de la edad de los pacientes

Frecuencia de errores comunicados en los diferentes tramos de edad. Comparación con el valor esperado según la utilización de medicamentos (envases)

■ % de errores notificados  
— % de errores esperados según envases utilizados en cada tramo de edad



Los niños, sobre todo <5 años, acumulan un mayor número de errores de medicación con respecto al volumen de utilización de fármacos. Así pues, son grupos en los que hay que extremar la vigilancia

## OMS insta al uso de medicamentos seguros para niños

*Ginebra.* - La 60 Asamblea Mundial de la Salud aprobó ayer una resolución en la que insta a los 193 países miembros de la Organización Mundial de la Salud (OMS) que comercialicen medicamentos pediátricos "seguros y de calidad", adaptados específicamente para el consumo por menores.

La resolución insta a investigar y desarrollar medicamentos apropiados contra las enfermedades que afectan a los niños y a estudiar si los ya existentes pueden adaptarse para el uso pediátrico, contó Efe.

El texto recuerda que "la falta de acceso a medicamentos esenciales de calidad garantizada aún plantea un riesgo alto de morbilidad y mortalidad entre los niños, sobretudo en los menores de cinco años".

Por ese motivo, se solicita a la directora general de la OMS, Margaret Chan, que revise y actualice la Lista Modelo de Medicamentos Esenciales para niños, e impulse la elaboración de pautas de tratamiento basadas en datos científicos e información independiente so-

bre dosis y aspectos relacionados con la seguridad.

El objetivo es que "los profesionales de todo el mundo puedan determinar mejor cuál es el fármaco más adecuado y su dosis" para cada patología pediátrica.

También se pide a los países miembros que instauren medidas para supervisar los precios de los fármacos pediátricos y promuevan ensayos clínicos de calidad y que respeten los valores éticos para la obtención de productos "eficaces y asequibles".

La resolución anima a la colaboración de la OMS con otros organismos de la ONU, como el de la propiedad intelectual (OMPI), así como con la Organización Mundial del Comercio (OMC), la comunidad de donantes, las ONG y la industria farmacéutica. Así "podrán promoverse prácticas leales en el comercio de los medicamentos pediátricos seguros y eficaces y una financiación suficiente para garantizar la mejora del acceso a los medicamentos de uso pediátrico".

... La OMS insta a investigar y desarrollar medicamentos apropiados contra las enfermedades que afectan a los niños y a estudiar si los ya existentes pueden adaptarse para el uso pediátrico...

## MARCO LEGISLATIVO

La seguridad y la búsqueda de eficacia han motivado la evolución de la Legislación, fundamental en la última década.

-1997: Formación del CPMP- Comité Europeo para el Registro de Productos Medicinales, destinado a la evaluación de fármacos para uso pediátrico

-2003: Incentives and Rules for investigation on medicinal products in children

## MARCO LEGISLATIVO

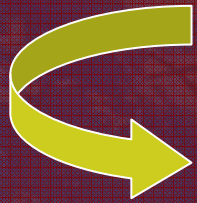
-2006: Publicación del Reglamento 1901/2006 del Parlamento Europeo y del Consejo

Es, por su importancia, el denominado "Reglamento Pediátrico"

Entra en vigor en enero de 2007, y constituye el marco jurídico que permitirá aumentar la **disponibilidad de medicamentos** específicamente diseñados y autorizados para los niños.

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico



Objetivos → Mejorar la salud de los niños

- Incrementar la investigación de máxima calidad y ética en los niños
- Aumentar la disponibilidad de medicamentos autorizados para los niños
- Aumentar la información sobre los medicamentos

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico



Dichos objetivos deben conseguirse:

- Sin someter a la población pediátrica a ensayos clínicos innecesarios
- Sin retrasar la autorización del medicamento a otros grupos de edad

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico



### Principales medidas

- Crea el **Comité Pediátrico**
- Divide los medicamentos en 3 grupos (no autorizados, con autorización previa, y huérfanos) y establece medidas para extensión de patentes
- Exige que los datos pediátricos se basen en un **Plan de Investigación Pediátrica (PIP)**
- Establece la obligatoriedad de elaboración de **Planes de Gestión de Riesgos (PGR)**

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 1. Comité Pediátrico

Formado por miembros independientes con experiencia en todos los aspectos relacionados con el uso de medicamentos en la infancia

El Comité Pediátrico debe considerar las ventajas terapéuticas significativas para los pacientes pediátricos que participen en los estudios, o para el conjunto de la población pediátrica, así como la necesidad de evitar estudios innecesarios

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 1. Comité Pediátrico (II)

#### Múltiples funciones:

- Evaluación científica y aprobación de los PIPs
- Servir como grupo de expertos asesores del Comité de Medicamentos de Uso Humano de la EMEA
- Contribución científica a la red de investigadores, información, seguimiento de la utilización, propuesta de guías de trabajo...
- Consejo a la Comisión de la UE sobre Educación Pública en materia de investigación clínica con niños

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 2. Medidas para extensión de patentes

#### 2.1. Medicamentos no autorizados (sin patente previa)

Es obligatorio presentar los resultados de un PIP acordado en el momento de la autorización de comercialización

Recompensa → extensión de 6 meses para el certificado de protección

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 2. Medidas para extensión de patentes

#### 2.2. Medicamentos "antiguos", fuera de patente

Se habilita un nuevo tipo de Autorización de Comercialización:  
**PUMA** (Paediatric Use Marketing Authorisation)

↓  
Precisa {  
Presentación de un PIP  
Diseño de una formulación pediátrica  
Indicación pediátrica

Recompensa → obtención de 10 años de protección y exclusividad, pudiendo emplear la marca que ya existía

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 2. Medidas para extensión de patentes

#### 2.3. Medicamentos huérfanos

Se debe realizar un desarrollo pediátrico de acuerdo a un PIP

Recompensa → extensión de 2 años adicionales de exclusividad que se añaden a los 10 años por la nueva autorización

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 3. Planes de Investigación Pediátrica (PIP)

Es el plan de investigación y desarrollo destinado a garantizar que se generen los datos necesarios para determinar las condiciones en las que un medicamento puede ser autorizado para su administración a población pediátrica.

↓  
Detalles de tiempo y medidas propuestas para demostrar

{  
  Calidad  
  Seguridad  
  Eficacia

{  
Medidas de adaptación de la formulación para hacerlas más aceptables, fáciles, seguras y efectivas en cada subgrupo de edad

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 3. Planes de Investigación Pediátrica (PIP)(II)

- Se debe enmendar de acuerdo a lo dicho por el Comité Pediátrico y su decisión es vinculante.

- Las autoridades establecerán plazos para su presentación, para garantizar el diálogo temprano entre el Comité Pediátrico y el promotor



Suelen presentarse, junto con la solicitud de aprobación (pues se integran en los planes de desarrollo de medicamentos para adultos) a más tardar al finalizar los estudios de farmacocinética humana con adultos.

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 3. Planes de Investigación Pediátrica (PIP)(III)

Resultados de los 3 primeros años:

| Solicitudes recibidas (n° y %)             |           |
|--|-----------|
| Mtos aún no comercializados                | 416 (66%) |
| Mtos ya comercializados y bajo patente     | 192 (31%) |
| Mtos fuera de patente, para uso pediátrico | 21 (3%)   |

| Opiniones emitidas (n° y %)                   |           |
|---|-----------|
| Opiniones favorables sobre aspectos concretos | 125 (36%) |
| Opiniones favorables sobre PIPs completos     | 205 (59%) |
| Denegaciones                                  | 17 (5%)   |

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 4. Plan de Gestión de Riesgos (PGR)

- Los datos sobre seguridad previos a la autorización para pediatría son escasos.
- Normalmente se extrapolan los datos obtenidos con un N calculado para obtener datos de eficacia, lo cual es insuficiente para valorar los perfiles de seguridad
- Además, en los EC no se evidencian ni EA graves si tienen un largo periodo de latencia, ni los poco frecuentes ni aquellos desencadenados por el crecimiento

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 4. Plan de Gestión de Riesgos (PGR)(II)

Aún con sus limitaciones, deben pues recogerse todos los datos referentes a su uso:

- Datos de AE sacados de estudios de eficacia
- Datos de toxicología en animales jóvenes (aun contando con el bajo valor predictivo de los mismos), así como de carcinogénesis y mutagenicidad
- Datos obtenidos del seguimiento a largo plazo, y de su uso en régimen de uso compasivo, previos a su autorización.

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 4. Plan de Gestión de Riesgos (PGR)(III)

Así pues... es **fundamental definir las especificaciones de Seguridad y el Plan de Farmacovigilancia (FV)**, conociéndose de antemano los aspectos estudiados: la duración del uso del fco, el nº de pacientes tratados y en qué indicación.

En el PGR deben constar datos fundamentales como:

El potencial uso fuera de indicación autorizada, así como los planes para ampliar indicaciones post-autorización

El manejo de los posibles errores de medicación

La forma en que se deben notificar las intoxicaciones/envenenamientos

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 5. Otras medidas de interés

- Establecimiento de un INVENTARIO de uso en niños, en el que figurarán las necesidades, los ya existentes, así como las prioridades en investigación y desarrollo.

Hasta estar disponible el citado inventario, se dispone de unos listados provisionales de ciertas áreas terapéuticas

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### Inventario pediátrico

(<http://www.emea.europa.eu/htms/human/paediatrics/inventory.htm>)

#### INOTROPES, PHOSPHODIESTERASE INHIBITORS, INODILATORS, VASODILATORS

##### LEVOSIMENDAN

|                               |  |
|-------------------------------|--|
| <i>Authorised indication</i>  | Heart failure  |
| <i>Authorised age group</i>   | > 15 years   |
| <i>Authorised dose</i>        | 12-24 µg/kg, followed by 0.1 µg/kg/min   |
| <i>Authorised formulation</i> | 2.5 mg/ml intravenous solution   |
| <i>Needs<sup>1</sup></i>      | Extension of the indication (efficacy, long term safety data and dose) < 15 years<br>Age appropriate formulation |

##### MILRINONE

|                               |  |
|-------------------------------|--|
| <i>Authorised indication</i>  | Heart failure, low cardiac output following cardiac surgery  |
| <i>Authorised age group</i>   | > 12 years   |
| <i>Authorised dose</i>        | 0.3-0.75 µg/kg/min   |
| <i>Authorised formulation</i> | Intravenous solution   |
| <i>Needs</i>                  | Extension of the indication (efficacy, long term safety data and dose) < 12 years<br>Age appropriate formulation |

##### ENOXIMONE

|                               |   |
|-------------------------------|---|
| <i>Authorised indication</i>  | Heart failure   |
| <i>Authorised age group</i>   | Adults  |
| <i>Authorised dose</i>        | -   |
| <i>Authorised formulation</i> | 100mg/ml, 150mg/ml solution for injection                                 |
| <i>Needs</i>                  | Extension of the indication (efficacy, long term safety data and dose) to |

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 5. Otras medidas de interés (II)

- Establecimiento de una lista de necesidades sobre estos fármacos, con listados de prioridad en la investigación.

(<http://www.emea.europa.eu/htms/human/paediatrics/prioritylist.htm>)

The products are listed according to their therapeutic field and condition(s) in alphabetical order. Age-appropriate formulations (even if not stated explicitly for a product) and data in neonates (except for oncology) are considered to be of high priority.

| Therapeutic field | Product                      | Condition(s)                                | Specific needs                    |
|-------------------|------------------------------|---|-----------------------------------|
| Cardiology        | (refer also to 'nephrology') |   |                                   |
|                   | adrenaline                   | Shock, cardiac failure                      | Data on efficacy in neonates.*    |
|                   | amiodarone                   | Supraventricular and ventricular arrhythmia | Data on long-term safety.         |
|                   | dobutamine                   | Shock, cardiac failure                      | Data on efficacy in neonates.*    |
|                   | dopamine                     | Shock, cardiac failure                      | Data on efficacy in neonates.*    |
|                   | milrinone                    | Cardiac failure                             | Data on PK, efficacy and safety.* |
|                   | propranolol                  | Hypertension, supraventricular tachycardia  | Data on PK, efficacy and safety.  |

\* Please note that there is a need for international consensus on the definition of 'shock' in neonates, and any medicine development should take this into consideration.

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 5. Otras medidas de interés (III)

- Obligatoriedad de acceso público a la información sobre investigación pediátrica, tanto a través de:

- Base de datos de ensayos clínicos (EudraCT)

- Bases de datos de todos los medicamentos autorizados en la UE (Europharm)

En estas BBDD constarán todos los EC pediátricos en curso, los interrumpidos prematuramente y los finalizados.

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

### 5. Otras medidas de interés (IV)

- Establecimiento de un símbolo, aún sin definir, para el estuche y envase de los medicamentos que se autoricen con indicación pediátrica.
- Establecimiento de una red de investigación pediátrica dependiente de la EMEA
- Oferta la posibilidad de recibir información y consejo científico de forma gratuita  
([http://www.emea.europa.eu/htms/human/paediatrics/sci\\_gui.htm](http://www.emea.europa.eu/htms/human/paediatrics/sci_gui.htm))

# MARCO LEGISLATIVO

## Reglamento pediátrico

... a día de hoy...

Seguimos contando con un arsenal terapéutico limitado para los niños, a pesar de los pasos dados... por lo que seguimos precisando de una herramienta legal que cubra la responsabilidad del uso terapéutico de muchos fármacos: el uso compasivo

## USO COMPASIVO

El uso no autorizado de fármacos en pediatría ha conllevado siempre un riesgo por la comentada ausencia de datos de eficacia y seguridad de los mismos.

La propia EMEA lo revisó, concluyendo que el uso de fármacos no aprobados incrementa la incidencia y gravedad de reacciones adversas a medicamentos

# USO COMPASIVO



European Medicines Agency  
*Pre-authorisation Evaluation of Medicines for Human Use*

October 2004  
EMEA/126327/2004

## **Evidence of harm from off-label or unlicensed medicines in children** **EMEA**

### **Executive Summary**

This document has been prepared by the EMEA on the basis of limited available evidence, following a request from the European Commission. It focuses on evidence of harm from off label or unlicensed medicines in children from both a review of literature and a search of the EMEA Eudravigilance database.

Very few publications specifically address the issue of off label and/or unlicensed medicines. Underreporting is the case for paediatric adverse drug reactions (ADR's) as for adults, but may be even more common for unlicensed, off-label medicines. In contrast to spontaneous reporting, prospective monitoring of ADR's indicates higher incidence and in particular shows up to double

## USO COMPASIVO

Sin embargo, dada la ausencia de indicaciones pediátricas en el 50-90% de los fármacos, y que ésto afecta al 20% de la población de la UE (aproximadamente 150 millones de menores de 18 años), el uso de fármacos bajo esa circunstancia es casi obligatorio

### La mitad de los fármacos para niños sólo se prueba en adultos

La falta de voluntarios y el coste económico, principales causas

**Los ensayos clínicos en pediatría** han crecido un 3% desde 2007, pero sus medicinas aún no tienen todas las garantías.

Alberto Lázaro

MADRID- Los niños parecen ser los grandes olvidados de las empresas farmacéuticas. Y es que sólo el 50 por ciento de los fármacos que prescriben los pediatras en Europa han sido elaborados específicamente para ellos, según explica la doctora María José Mellado, del Servicio de Pediatría del hospital Carlos III de Madrid.

Cada vez que se aprueba un nuevo fármaco, los laboratorios deben evaluarlo con animales primero y después con humanos. El problema se plantea con los fármacos pediátricos que, para su correcto empleo, deben ser probados en la infancia. Los padres son reacios a que sus hijos formen parte de los ensayos clínicos, y muy



Las dosis tienen en cuenta la edad, el peso y la tolerancia

## USO COMPASIVO

**Definición:** hasta ahora se definía como la utilización de un fármaco en indicaciones o condiciones de uso no autorizadas en pediatría...

1. Uso de fármacos para cuya indicación no ha sido autorizado su uso en la población adulta, pero que se utiliza por indicación distinta a la autorizada.

2. Uso de fármacos en niños para los que sí está autorizada su utilización en la población adulta = uso compasivo por indicaciones de uso distintas a las de FT.

## USO COMPASIVO

Se precisaba:

- Informe clínico que justificase su necesidad
- Consentimiento informado del paciente o tutor legal
- Autorización de la Dirección Médica del centro
- Autorización de la AGEMED

# USO COMPASIVO

## Nueva legislación (I)

Sin embargo, posteriormente se ha publicado el RD 1015/2009, de 19 de Junio, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales.

*"Limita el uso excepcional de medicamentos en condiciones distintas de las autorizadas a la esfera de la práctica clínica, y por tanto, al ámbito de responsabilidad del médico prescriptor, no requiriéndose autorización estatal caso por caso".*

## USO COMPASIVO

### Nueva legislación (II)

RD 1015/2009, de 19 de Junio, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales

No obstante, sí reconoce que existen ciertas situaciones en las que es recomendable que la AGEMED emita una recomendación basada en la evidencia disponible en materia de eficacia y seguridad.

# USO COMPASIVO

## Nueva legislación (III)

### Uso compasivo de medicamentos en investigación:

*" empleo de mto antes de su autorización en pacientes que padecen una enfermedad crónica o gravemente debilitante o que se considera que pone en peligro su vida, y que no pueden ser tratados satisfactoriamente con un mto autorizado...*

*... El mto de que se trate deberá estar sujeto a solicitud de autorización de comercialización o en EC".*

# USO COMPASIVO

## Nueva legislación (IV)

### Uso de medicamentos en condiciones diferentes de las autorizadas:

*"El uso de medicamentos en condiciones distintas a las incluidas en la FT.*

*...Este uso tendrá carácter excepcional y se limitará a las situaciones en las que se carezca de alternativas autorizadas..."*

# USO COMPASIVO

## Nueva legislación (V)

Uso de medicamentos en condiciones diferentes de las autorizadas:

*"...respetando en su caso las restricciones que se hayan establecido ligadas a la prescripción y/dispensación del mto y al protocolo terapéutico asistencial de cada centro sanitario.*

*...El médico deberá justificar convenientemente en la HC la necesidad de su uso en informar al paciente de los posibles beneficios y riesgos potenciales, obteniendo su consentimiento".*

## USO COMPASIVO

### Uso compasivo: ¿qué pasa con la pediatría?

El ámbito pediátrico queda mayoritariamente restringido a esta 2ª opción, por lo que cabe preguntarse si esta medida no se opone a la filosofía del Reglamento Pediátrico, que promovía precisamente la recogida de toda la información que sobre el uso de fármacos en población pediátrica se pudiera recabar.

# PAPEL DEL FARMACÉUTICO PEDIÁTRICO

Nuestra función debe ser buscar el equilibrio entre las partes:



- Velando por el cumplimiento de la ley
- Impulsando el desarrollo científico y técnico
- Buscando ante todo el interés de los pacientes

# PAPEL DEL FARMACÉUTICO PEDIÁTRICO

## 1. Velando por el cumplimiento de la ley

a) Mantener informado al prescriptor médico

b) Insistir en la obligación de informar a los pacientes /tutores legales y conseguir su consentimiento

c) Garantizar al menos que ésto se lleve a cabo en aquellos fármacos:

- Más nuevos
- Con menor experiencia de uso
- Con menor evidencia científica



# PAPEL DEL FARMACÉUTICO PEDIÁTRICO

## 2. Impulsando el desarrollo científico y técnico

a) Promoviendo programas de FV intensiva centrada en los fármacos más nuevos, con menor experiencia de uso o con menor evidencia científica



The screenshot shows the header of a journal article. On the left is the logo of the 'Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria'. The title of the journal is 'BOLETÍN ELECTRÓNICO DE FARMACIA PEDIÁTRICA'. Below the header, the article title is 'Pediatric off-label use of recombinant factor VIIa.' with a date of '01/04/2009'. The journal information is 'Pediatrics. 2009 Mar;123(3):1066-72'. The abstract text reads: 'El artículo recoge la experiencia de un centro con el empleo de factor VII recombinante en 135 pacientes no hemofílicos para el tratamiento o prevención de sangrado. El empleo de factor VII fuera de indicación se ha asociado con la aparición de fenómenos tromboembólicos en niños.' A URL is provided: <http://pediatrics.aappublications.org/cgi/gca?allch=&SEARCHID=1&FULLTEXT=off-label+use+of+recombinant+factor+Vii&FIRSTINDEX=0&hits=10&RESULTFORMAT=&gca=pediatrics%3B123%2F3%2F1066&allchb=>

# PAPEL DEL FARMACÉUTICO PEDIÁTRICO

## 2. Impulsando el desarrollo científico y técnico (II)

b) Divulgando las experiencias de uso en nuestros centros, en congresos y demás reuniones científicas y publicando en revistas de impacto.

c) Integrándonos en los equipos multidisciplinares de atención al paciente pediátrico, promoviendo y participando desde allí en proyectos científicos de investigación pediátrica (EC).

# PAPEL DEL FARMACÉUTICO PEDÁTRICO

## 2. Impulsando el desarrollo científico y técnico

**ISCI** Instituto de Salud Carlos III *Acción estratégica en Salud*

- ◆ **Convocatoria de ayudas**
- ◆ Calendario de Admisión de Solicitudes
- ◆ Normativa Reguladora
  - Bases Reguladoras
  - Convocatoria 2009
  - Modificación económica actuación sobre Institutos de Investigación Sanitaria acreditados
  - Normativa General
- ◆ FAQ

**LINEAS DE ACTUACIÓN**

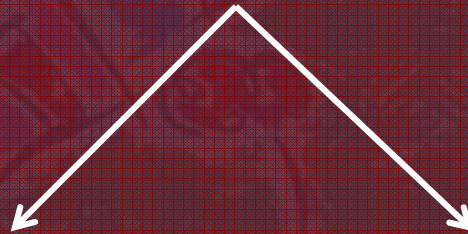
- Recursos Humanos**
- Proyectos de Investigación**
  - Proyectos de investigación en salud**
    - Órgano instructor:  
Subdirección Gral. de Evaluación y Fomento de la Investigación
  - Proyectos de investigación clínica no comercial con medicamentos de uso humano**
    - Órgano instructor:  
Subdirección Gral. de Evaluación y Fomento de la Investigación
  - Proyectos de investigación en evaluación de tecnologías sanitarias y servicios de salud**
    - Órgano instructor:  
Subdirección Gral. de Evaluación y Fomento de la Investigación
- Infraestructuras Científico-Tecnológicas**

**Plan Nacional de I+D+i 2008 - 2011**

# PAPEL DEL FARMACÉUTICO PEDIÁTRICO

## 2. Impulsando el desarrollo científico y técnico

d) Promoviendo el desarrollo y evaluación de protocolos de uso de fármacos en población pediátrica



Garantizando el uso de acuerdo a la evidencia científica disponible

Disminuyendo la variabilidad de la práctica médica al respecto

# PAPEL DEL FARMACÉUTICO PEDIATRICO

## 3. Buscando ante todo el interés de los pacientes



- a) Las posibilidades terapéuticas con más garantías (legal vs ciencia)
- b) El asesoramiento de la Comisiones de Ética e Investigación Clínica

## CONCLUSIONES

El papel del farmacéutico en la Investigación y el Uso Compasivo pediátrico es:

**CONOCER, INFORMAR Y  
GARANTIZAR UN USO  
RACIONAL DEL MEDICAMENTO  
EN PEDIATRÍA**

