

Special Populations

Definizione ?

ICH Harmonised Tripartite Guideline

**Studies in Support of Special Populations:
Geriatrics**

E7

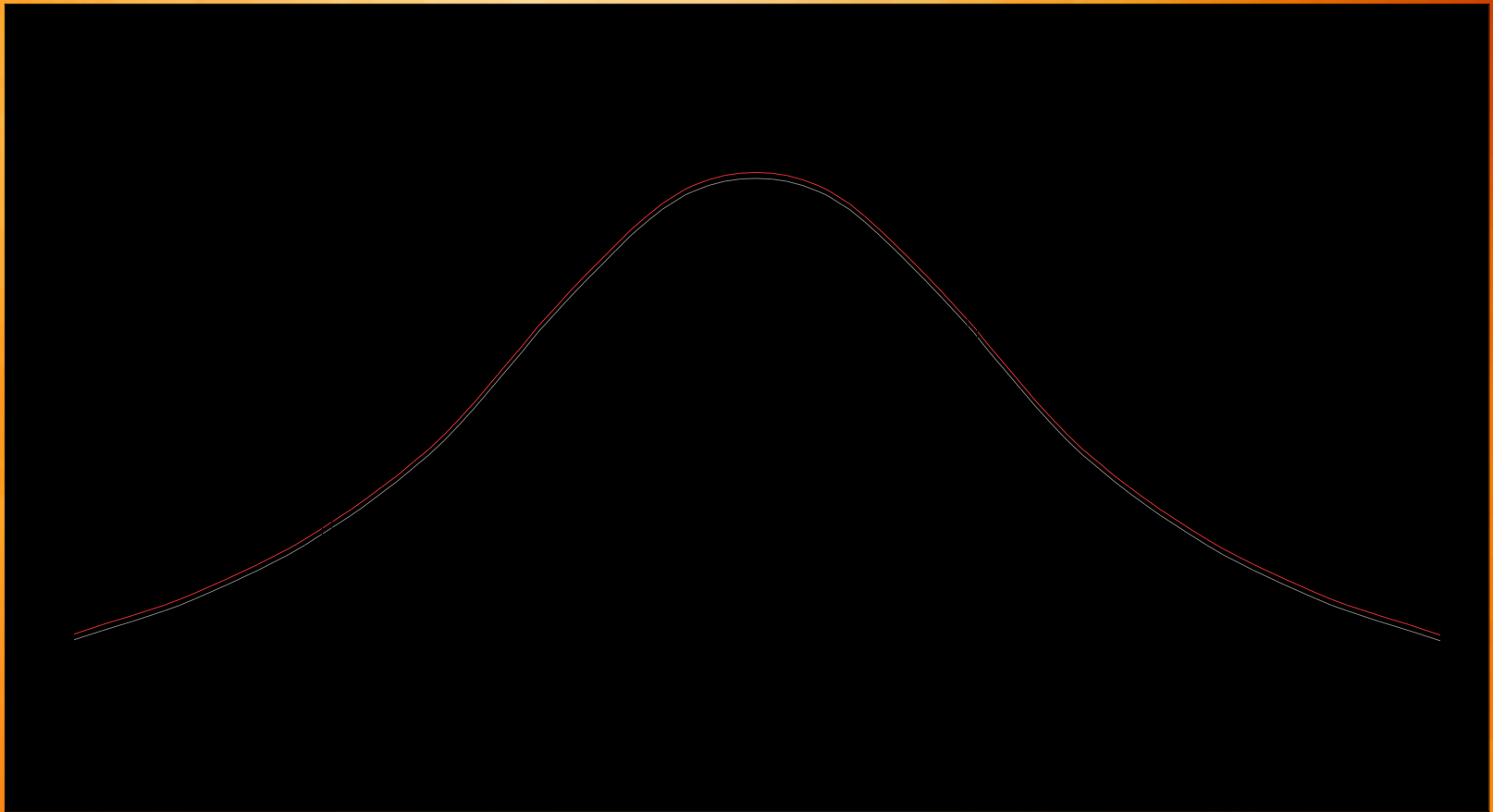
**Clinical Investigation of Medicinal Products in the
Pediatric Population**

E11

Guideline for Good Clinical Practice

E6

Descrizione



Descrizione

Classi d'età

●Pediatric population

- Nati pretermine
- 0-27 giorni
- 28 giorni-23 mesi
- 2-11 anni
- 12-(16-18) anni

●Geriatric population

- Giovani anziani (65-75 aa)
- Vecchi anziani (76-84 aa)
- Grandi anziani (> 84aa)

Specificità

Considerazioni generali per lo sviluppo di un protocollo

Pediatric population

- ✓ **prevalenza della malattia**
- ✓ **gravità della condizione**
- ✓ **presenza o meno di trattamenti alternativi, (profilo dell'azione e degli AEs degli stessi)**
- ✓ **farmaco innovativo, o ampliamento delle indicazioni.**
- ✓ **indicazione unica (pediatrica)**
- ✓ **necessità di creare end-points specificatamente pediatrici**
- ✓ **sviluppo di un profilo di sicurezza unicamente pediatrico**
- ✓ **potenziale necessità di sviluppare formulazioni pediatriche**

Specificità

Considerazioni generali per lo sviluppo di un protocollo

- Geriatric population
 - Inserimento in studi di fase 3
 - Quando lo studio prevede un numero $>$ a 100, una quota dovrebbe essere di pazienti anziani
 - L'inserimento in studi di fase 2 dovrebbe essere ben valutato dal promotore
 - La presenza di patologie concomitanti importanti non dovrebbe a priori escludere la possibilità di inserimento in uno studio

Specificità

● Pediatric population

- Farmacocinetica
 - Sicurezza
 - Azione
 - Post-marketing
-
- Fasi 1-4

● Geriatric population

- Farmacocinetica
 - Farmacocinetica in pazienti con alterazioni della funzionalità renale ed epatica
 - Farmacodinamica, analisi della dose risposta
-
- Fasi 2-4

Aspetti etici

DECLARATION OF HELSINKI

25. Quando un soggetto è ritenuto legalmente incapace, quale un minorenne, e non può dare l'approvazione alle decisioni circa la partecipazione alla ricerca, il ricercatore deve verificare che l'approvazione oltre che il consenso venga dato dal rappresentante legalmente autorizzato.

Aspetti etici

DIRETTIVA 2001/20/CE DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO del 4 aprile 2001

**g)
le sperimentazioni cliniche sono state concepite in modo da ridurre al minimo il dolore, il disagio, la paura e gli altri rischi prevedibili, in relazione alla malattia e alla fase dello sviluppo; la soglia del rischio ed il grado di malessere devono essere definiti espressamente ed essere oggetto di continua verifica;**

Aspetti etici

DIRETTIVA 2001/20/CE DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO del 4 aprile 2001

**h)
il protocollo è stato approvato da un comitato etico competente nel campo della pediatria o che si è preventivamente avvalso di una consulenza in merito alle questioni cliniche, etiche e psico-sociali in ambito pediatrico**

Aspetti etici

DIRETTIVA 2001/20/CE DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO del 4 aprile 2001

a)

è stato ottenuto il consenso informato dei genitori o del rappresentante legale; il consenso deve rispecchiare la volontà presunta del minore e deve poter essere ritirato in qualsiasi momento senza che ciò arrechi pregiudizio a quest'ultimo;

Aspetti etici

DIRETTIVA 2001/20/CE DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO del 4 aprile 2001

- b)
il minore ha ricevuto da personale esperto nel trattare con minori informazioni commisurate alla sua capacità di comprensione sulla sperimentazione, i rischi e i benefici;**

Aspetti etici

DIRETTIVA 2001/20/CE DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO del 4 aprile 2001

**c)
lo sperimentatore o, eventualmente, lo sperimentatore principale
tiene conto del desiderio esplicito di un minore in grado di formarsi
un'opinione propria e i valutare tali informazioni, di rifiutare la
partecipazione o i ritirarsi dalla sperimentazione clinica in qualsiasi
momento;**

Aspetti etici

Council for International Organizations of Medical Sciences, WHO, Geneva 2002 International Ethical Guidelines for Biomedical Research Involving Human Subjects

Guideline 14: Research involving children

Prima di iniziare una ricerca nella quale sono inseriti bambini, il ricercatore deve verificare che:

- la ricerca non ha potuto scaturire ugualmente da uno studio con gli adulti;
- lo scopo della ricerca è ottenere la conoscenza relativa ai bisogni di salute dei bambini;
- un genitore o un rappresentante legale di ogni bambino ha dato il permesso;
- l'accordo (approvazione) di ogni bambino è stato ottenuto nella misura delle possibilità degli stessi; e un rifiuto dei bambini a partecipare o continuare alla ricerca sarà rispettato.

Aspetti etici

Decreto Ministeriale 2 marzo 2004

Istituzione di una banca dati per il monitoraggio della terapia genica e la terapia cellulare

Articolo 2

Nel caso di sperimentazioni con preparazioni per terapia genica, l'impiego di vettori con potenziale genotossicità inserzionale, quali ad esempio i vettori retrovirali, e per i quali i dati di sicurezza non offrono sufficienti garanzie, è consentito solamente nei casi di patologie a rapida progressione e prognosi infausta (aspettativa di vita di mesi), dopo aver stabilito per ciascun paziente l'esistenza di un rapporto beneficio/rischio favorevole, ed in assenza o con dimostrata inefficacia di terapie alternative praticabili.

Aspetti etici

Stiamo spiegando cosa avverrà e stiamo chiedendo il consenso a qualcuno che non è il soggetto col quale andremo ad eseguire la sperimentazione

Dati NCI 2005

	TOT	Ph 1	Ph 2	Ph 3	Ph 4	Oss	Pil		Adulti
New agents	5	1	-	-	-	-	-		-
Sarcomas	6	-	2	-	1	-	2		47
Brain Tumors	1	-	1	-	-	-	-		37
Neurofibromas	5	2	2	-	-	1	-		-
Leukemia/Lymp	7	3	3	-	-	-	1		198
Antifungal	2	-	-	-	1	1	-		-
Imaging	2	-	-	2	-	-	-		-
Blood & BMSCT	3	-	1	-	-	-	2		
TOT	26	6	9	2	2	2	5		

Conclusioni

Lo sviluppo di protocolli di ricerca nelle SP è raccomandato.

Lo sviluppo di protocolli di ricerca infermieristica nelle SP è fortemente raccomandato.

GRAZIE