

Европейски организации за борба с детския рак

Препоръки

във връзка с оценка на Европейската комисия за Законодателство, свързано с лекарствата за редки болести и за деца

и стартирането на Европейска фармацевтичната стратегия

Резюме

Европейската комисия публикува цялостна оценка на законодателството, свързано с лекарствата за редки болести и за деца, като оцени силните и слабите страни на Регламента за лекарствата сираци и за педиатрията.

Липсата на достатъчно инвестиции и бавният темп на иновации затрудняват напредъка в лечението на детски рак, който остава първата причина за смъртност от болест при деца на възраст над една година в Европа. Нито една от разпоредбите не обслужва спешните нужди на деца и юноши с рак, а тези, които имат щастието да се излекуват, трябва да се справят с остри и трайни неблагоприятни дългосрочни странични ефекти, причинени от по-старите лекарства. Освен това все още има неравенство в достъпа до нови и основни лекарства за деца и юноши с рак в цяла Европа.

Общоевропейските организации за борба с детския рака приветстват признаването на тези неудовлетворени нужди в рамките на оценката и по-нататъшното преразглеждане на законодателството, като представят **6 ключови препоръки**, които имат значение и за други редки болести, застрашаващи живота на децата. В по-широк смисъл тези препоръки се отнасят до това, какво общността, посветена на детския рак, би искала да бъде разгледано във Фармацевтичната стратегия за Европа.

Препоръка 1: Привеждане на разпоредбите в съответствие с науката и неудовлетворените нужди на децата

Препоръка 2: Осигуряване на специфични педиатрични и “First-In-Child” иновации

Препоръка 3: Прилагане стандарт за сътрудничество и приоритизиране с всички заинтересовани страни

Препоръка 4: Разпределяне на публичните инвестиции за развитие на педиатрията

Препоръка 5: Привеждане в съответствие на глобалната регулаторна среда

Препоръка 6: Осигуряване на равен достъп до основни и нови противоракови и поддържащи лекарства

За повече информация, моля прочетете документа.

Защото всички деца и юноши заслужават безгрижно детство и равни права

КРАЙ НА РЕЗЮМЕТО

ДЕКЛАРАЦИЯ НА ЕВРОПЕЙСКИТЕ ОРГАНИЗАЦИИ ЗА БОРБА С ДЕТСКИЯ РАК

Европейски организации за борба с детския рак

SIOPE Europe и CCI Europe: Европейски организации, представляващи общества от специалисти, родители и пациенти, свързани с рака в детска възраст, приветстват признанието в доклада на Европейската комисия, че редките детски болести и детските онкологични заболявания не са разгледани в достатъчна степен от настоящото законодателство в областта на медицината [1-3].

Необходими са спешни действия за преразглеждане на регулаторната среда в съответствие с набор от предложения, базирани на доказателства, за разработване на иновативни лекарства за деца и юноши с рак и за подобряване на достъпа до нови и основни лекарства за тези пациенти.

Детските онкологични заболявания в Европа

Всички по отделно са редки, но взети заедно **детските онкологични заболявания са водеща причина за смъртност** при децата над една година в Европа и допринасят за доживотна заболеваемост при някои сървайвъри:

- ✦ Повече от **35 000 новодиагностицирани** всяка година;
- ✦ Повече от **6 000 малки пациенти** загиват всяка година;
- ✦ До **60% от 500 000 сървайвъри** имат дългосрочни неблагоприятни ефекти.

Онкологичните заболявания в детска възраст са голямо бреме, което сериозно засяга най-уязвимата група в Европа - децата, със сериозни последици за семействата и обществото като цяло.

Липсата на иновации като основен виновник

Поради своята рядкост, като отделни диагнози, **детските онкологични заболявания имат ограничен пазар за разработване на иновации.**

Увеличаването на процентите на излекувани е благодарение на академични усилия, използващи налични лекарства, първоначално предназначени за възрастни.

Днес, застоя в преживяемостта при няколко трудно лечими детски злокачествени заболявания все още е причина за висока смъртност.

Докато употребата на утвърдени лекарства е повишила процентът излекувани, те, от своя страна, се свързват с остри и дългосрочни неблагоприятни странични ефекти, които трябва да бъдат повлияни с нови иновативни лечения.

Като цяло липсват достатъчно инвестиции и стимулиращи политики за употреба и развитие на иновациите за лечение на деца и юноши с рак в Европа.

Неравен достъп до нови и основни лекарства

Както показват резултатите от проучване в Joint Action on Rare Cancers (2016-2019), EU Health Programme [4], има важни проблеми при достъпа до лекарства, рутинно използвани за стандартното лечение на детски злокачествени заболявания в цяла Европа. Само 44% от лекарствата са докладвани като винаги достъпни в повече от 90% от изследваните страни. Недостигът беше основната причина за липсата на наличност, докато финансовите бариери са проблем главно в страните с по-ниски доходи и то за новоодобрени скъпи лекарства.

Регулаторна среда за иновации в Европа

EU Paediatric (Medicines) Regulation (EC No 1901/2006) стартира през 2007 г. с цел да се задоволят специфичните терапевтични нужди на деца с одобрени лекарства, преминали по-сериозна оценка. За съжаление, повече от десет години от прилагането на този регламент на ЕС, само **9 противоракови лекарства са разрешени за употреба при деца с рак, за сравнение при възрастните са над 150.**

От своя страна, Регламентът за лекарствата сираци също не успя да отговори на неудовлетворените нужди на детската онкология. Между 2000 и 2016 г. са лицензирани 18/26 (70%) от противоракови лекарства сираци, разрешени за възрастни, имащи отношение към децата, но няма информация за употребата на лекарствата при деца. Седем години по-късно към лиценза е добавена допълнителна информация, свързана с педиатрията, само за едно от тези лекарства [5].

Този бавен темп на иновации не може да обслужва адекватно децата – пациенти в целия спектър от специфични злокачествени заболявания, които засягат тази популация.

Доклад на Европейската комисия

От 2016г., заинтересованите страни в Европа работят, за да предадат доказателствата за основните неудовлетворени нужди и разработени от много заинтересовани страни решения за справяне с липсата на иновативни терапии за деца и юноши с рак. Обявяването на няколко заключения в доклада за оценка на Европейската комисия [6] е положителен знак, който трябва да бъде последван от бързи действия, които могат ефективно да се справят с идентифицираните проблеми:

„Нито една от двете наредби не се е доказала като ефективна за стимулиране на развитието на иновативни лекарства за деца с редки заболявания“

„Нито един регламент не предлага конкретни стимули за насърчаване на успешното разработване на иновативни лекарства, предназначени изключително за деца“

„Регламентът (за деца) не отговаря непременно на най-големите терапевтични нужди на децата (като лечение на детски рак и за новородени)“

„Публично финансираните изследвания са важни“

6 ключови препоръки, свързани с детските онкологични заболявания

В светлината на доклада за оценка на Европейската комисия и стартиралата Фармацевтична стратегия за Европа [7], **SIOP Europe** и **CCI Europe** представиха следните области на действие и препоръки за по-нататъшни действия на ЕС.

Препоръка 1: Привеждане на разпоредбите в съответствие с науката и неудовлетворените нужди на децата

- Прилагане на подход към развитието на детската медицина, воден от механизма на лекарственото действие, биологията на заболяването и нуждите на пациентите: това включва отмяна на член 11б от регламента за детската медицина.
- Намаляване на забавянията при започване на разработването на педиатрични лекарства.
- По-добре съобразени стимули за осигуряване на ранен старт в развитието на педиатрията.

Препоръка 2: Осигуряване на специфични педиатрични и “First-In-Child” иновации

- Улесняване на повторното позициониране на лекарства, отпаднали при възрастни, за лечение на педиатрични заболявания, когато има научна и предклинична обосновка.
- Стимулиране разработката „First-In-Child“ и пуснатото на пазара разрешение за лекарства срещу специфични педиатрични биологични таргети за лечение на деца с животозастрашаващи и инвалидизиращи редки заболявания, като детските онкологични заболявания.

Препоръка 3: Прилагане стандарт за сътрудничество и приоритизиране с всички заинтересовани страни

- Провеждане на диалог и сътрудничество с много заинтересовани страни за подобряване на прилагането на законодателството за децата и създайте механизъм за определяне на приоритетите на най-добрите потенциални кандидати за медицина, съобразени с незадоволените нужди на децата.

Препоръка 4: Разпределяне на публичните инвестиции в развитието на педиатрията

- Разпределяне и интегриране на устойчиви нови публични инвестиции в специфични области на лекарствата сираци и педиатрията, като се свържете с мисията за борба с рака и други потоци на финансиране от Horizon Europe [8] Напредъкът изисква солидна подкрепа за специализирани международни академични изследователски

платформи, свързани и информирани от проучвания за възрастни и такива, ръководени от индустрията.

- Даване на възможност за академичното сътрудничество за съпоставяне и използване на големи данни и разработване на нови приложения в изкуствения интелект, за да се насърчат новаторски открития в целия континуум на изследванията и грижите. Преодоляването на настоящите ограничения, свързани със силовите за данни, присъщи на настоящите изследователски (инфра) структури, ще позволи пълно изследване на интегрирани набори от данни с голям потенциал за придобиване на нови прозрения в генезиса, развитието и лечението на детските онкологични заболявания [9].

Препоръка 5: Привеждане в съответствие на глобалната регулаторна среда

- Съгласуване на глобалното разработване на лекарства в детската онкология във връзка със Закона RACE за деца [10].
- Организиране на диалога между FDA, EMA и регулаторните мрежи в други юрисдикции, за да се осигури бързо, безопасно и ефективно разработване на детски противоракови лекарства.

Препоръка 6: Осигуряване на равен достъп до основни и нови противоракови и до поддържащи лекарства

- Гарантиране, че основните лекарства и лекарствата за поддържаща грижа, използвани за лечение на деца и юноши с рак, са достъпни за всички пациенти в цяла Европа по всяко време, включително мерки за противодействие на недостига, в съответствие със Списъка на основните лекарства за деца, разработен от СЗО и текущ проект на SIOPE Europe за основните лекарства
- Осигуряване на равен и навременен достъп до нови одобрени лекарства за всички пациенти в цяла Европа, осигуряване на привеждане в съответствие на оценката на здравните технологии (HTA) и разглеждане на подходи между оценката на EMA и HTA по отношение на развитието на педиатрията.

Освен това подчертаваме необходимостта от хармонизирана среда за трансгранични клинични изследвания, включително във връзка с ускоряване на прилагането на Регламента за клиничните изпитвания на ЕС.

Приносът на Европейската общност, посветена на детската онкология

Европейската общност, посветена на детската онкология, има дългогодишен опит в ангажирането и сътрудничеството с много заинтересовани страни за стимулиране на иновациите и е готова да подкрепи по-нататъшните усилия на ЕС в тази област. Съответните инициативи включват, но не се ограничават до:

1. **СРЕДА ЗА МНОГО ЗАИНТЕРЕСОВАНИ СТРАНИ:** Форум **ACCELERATE Paediatric Strategy** [11] за определяне на неудовлетворени медицински нужди и определяне на приоритетите за разработване на лекарствени продукти.
2. **ЕКСПЕРТЕН ОПИТ В ДЕТСКАТА ОНКОЛОГИЯ:** Бърз достъп до експертни познания в областта на детската онкология, биология, разработване на нови лекарства и регулаторна наука чрез ACCELERATE, ITCC и SIOP Europe.
3. **ПАЦИЕНТИТЕ В ЦЕНТЪРА:** Улеснено участие и ангажираност на пациенти и представители на родители чрез Childhood Cancer International – Europe.
4. **СЪЗДАВАНЕ НА МРЕЖА ЗА КЛИНИЧНИ ПРОУЧВАНИЯ:** Основна, транслационна и клинична изследователска мрежа на ЕС по-специално **SIOP Europe Clinical Research Council**.

Нашите мрежи и опит са ангажирани да подкрепят по-нататъшните усилия на ЕС за подобряване на достъпа до иновации за деца и юноши, които все още умират от рак в Европа и сървайвъри, които имат късни последици, затрудняващи живота им.

ЗА ЕВРОПЕЙСКИТЕ ОРГАНИЗАЦИИ ЗА БОРБА С ДЕТСКИЯ РАК

- **SIOP Europe (www.siope.eu)** – The European Society for Paediatric Oncology (SIOP Europe, or SIOPE) е единствената, обединена европейска организация на академичните среди и здравните специалисти, посветена на рака в детска и тийнейджърска възраст, работеща в тясно партньорство с групи от пациенти и сървайвъри в цяла Европа.
- **CCI Europe (www.ccieurope.eu)** – Childhood Cancer International - Europe (CCI Europe) представлява групи от родители на деца с онкологични заболявания и сървайвъри, както и организации в сферата на детската онкология в Европа. CCI Europe работи съвместно с всички съответни заинтересовани страни за една и съща цел: да помогне на децата и юношите с рак да бъдат излекувани, без никакви - или възможно най-малко - дългосрочни здравословни проблеми/късни ефекти.

Препратки:

1. European Medicines Agency. Report on a multi-stakeholder workshop held at EMA on How to better apply the Paediatric Regulation to boost development of medicines for children. 2018.
https://www.ema.europa.eu/en/documents/report/how-better-apply-paediatriclegislation-boost-development-medicines-children-report-multi_en.pdf
2. European Commission. State of Paediatric Medicines in the EU 10 years of the EU Paediatric Regulation. 2017.

- https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/paediatrics/docs/2017_childrens_medicines_report_en.pdf
3. SIOPE Europe, Unite2Cure, CRUK. Paediatric Cancer Medicines-Urgent need to speed up life-saving innovation Position statement. 2016.
https://siope.eu/media/wp-content/uploads/2013/12/Multistakeholder_proposals_Paediatric_Regulation1.pdf
 4. Joint Action on Rare Cancers; D9.1 Report summarising the result of the survey on accessibility of standard treatment and recommendations to Member States and Europe to overcome bottlenecks. 2019.
<https://jointactionrarecancers.eu/images/work-packages/wp9/D9.1%20Report%20summarising%20the%20results%20of%20the%20survey%20on%20accessibility%20of%20standard%20treatment%20and%20recommendations%20to%20Member%20States%20and%20Europe%20to%20overcome%20bottlenecks.pdf>
 5. Vassal G, et al. Orphan Drug Regulation: A missed opportunity for children and adolescents with cancer. Eur J Cancer 2017; 84:149–58.
<http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/28818704>
 6. European Commissions' Evaluation of Evaluation of the Medicines for Rare Diseases and Children Legislation. 2020.
https://ec.europa.eu/health/human-use/paediatric-medicines/evaluation_en
 7. European Commission. Pharmaceutical Strategy for Europe; 2020.
https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/en/ip_20_2173
 8. Kearns PR, et al. A European paediatric cancer mission: aspiration or reality? Vol. 20, The Lancet Oncology. 2019. p. 1200–2.
[https://www.thelancet.com/journals/lanonc/article/PIIS1470-2045\(19\)304875/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/lanonc/article/PIIS1470-2045(19)304875/fulltext)
 9. SIOPE Europe. Artificial Intelligence and Big Data: Towards the next frontier in paediatric cancer research & innovation in Europe. 2020.
<https://siope.eu/news/iccd-2020-news-release-artificial-intelligence-and-big-data/>
 10. 115th Congress 1st Session. A bill to amend the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act to establish a program to increase the development of new drugs to treat pediatric cancers, and for other purposes. 2017.
<https://www.govinfo.gov/content/pkg/BILLS-115hr1231ih/pdf/BILLS115hr1231ih.pdf>
 11. Vassal G, et al. Creating a unique, multi-stakeholder Paediatric Oncology Platform to improve drug development for children and adolescents with cancer. Eur J Cancer 2015; 51(2):218–224.
[https://www.ejancer.com/article/S0959-8049\(14\)01065-X/pdf](https://www.ejancer.com/article/S0959-8049(14)01065-X/pdf)

Useful links:

- Vassal G, et al. SIOP Europe Strategic Plan: A European Cancer Plan for Children and Adolescents. 2015. <https://siope.eu/european-strategic-plan/>
- Kowalczyk JR, et al. European Standards of Care for Children with Cancer. 2013 <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/24300454/>
- European Elections Manifesto of the Paediatric Cancer Community: <https://siope.eu/news/european-elections-2019-manifesto-paediatric-oncologyhaematology-communit/>
- JARC – Joint Action on Rare Cancers. Rare Cancer Agenda 2030: Ten Recommendations from the EU Joint Action on Rare Cancers. Casali PG, Trama A, editors. Lecce: Youcanprint; 2019. 131 p. https://jointactionrarecancers.eu/attachments/article/265/Rare_Cancer_Agenda_2030.pdf
- JARC – Joint Action on Rare Cancers. Report summarizing recommendations to facilitate referral of children to trial centers offering innovative medicines. 2019. <https://jointactionrarecancers.eu/images/work-packages/wp9/D9.2%20Report%20summarizing%20recommendations%20to%20facilitate%20referral%20of%20children%20to%20trial%20centers%20offering%20innovative%20medicines.pdf>