

# Soluterapiavalmisteet tulossa myös lasten sairauksien hoitoon

Pirjo Laitinen-Parkkonen, Anne Paavola, Merete Broms



Pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävät lääkkeet ovat tulossa myös lasten sairauksien hoitoon, vaikka melko hitaasti. Ensimmäinen kantasoluvalmisteen lastenlääkeohjelma hyväksyttiin Euroopan lääkevirastossa keväällä 2010.

Euroopan lääkeviraston lastenlääkekomitea PDCO teki keväällä 2010 ensimmäisen, ja toistaiseksi ainoan, päätöksen pitkälle kehitettyjen terapioiden piiriin kuuluvan soluvalmisteen tutkimusohjelmasta. Vaikka joitakin soluvalmisteita on parhaillaan komitean käsittelyssä, määrä on pieni kaikkiaan yli tuhannen käsitellyn lastenlääkeohjelman joukossa.

## Kantasoluvalmiste peräaukon fisteleiden hoitoon

Hyväksytty tutkimusohjelma koskee ihmisen rasvakudoksesta peräisin olevaa kantasoluvalmistetta CX-401, joka on tarkoitettu sekä Crohnin tautiin liittyvien että muuten esiintyvien peräaukon fisteleiden hoitoon. Tällainen fisteli on epänormaali kanava suolen ja ihon välillä, mikä syntyy yleensä tulehduksen seurauksena. Potilaan omista rasvasoluista tuotettavia soluja ruiskutetaan fisteliin, minkä seurauksena fistelin aukko kasvaa vähitellen umpeen.

Tältä kantasoluvalmisteelta vaadittiin lapsia koskeva tutkimusohjelma, eli se ei saanut poikkeuslupaa vain aikuisten käyttöön. Vaikka sairaus on niin harvinainen, että siihen tarkoitettu lääke on nimetty harvinaislääkkeeksi, sitä esiintyy aikuisten lisäksi myös lapsilla. On todennäköistä, että valmiste on tehokas myös lapsille annettuna, eikä merkittäviä turvallisuusriskejä nimenomaan lapsilla ilmene. Valmisteen odotetaan tuovan merkittävän lisän yli 4-vuotiaiden lasten hoitoon.

## Turvallisuudesta lapsilla tarvitaan lisätietoja

Lastenlääkeasetuksen mukaan tarpeettomia lapsiin kohdistuvia tutkimuksia tulee välttää. Kun lastenlääkeohjelmissa arvioidaan lääkkeen tehoa lapsilla, pyritään aina ottamaan huomioon aikuisilla mahdollisesti jo tehtyjen tutkimusten tulokset ja niiden hyödyllisyys. Kyseisellä kantasoluvalmisteella on tehty joitakin tutkimuksia aikuispotilailla, joten valmisteen tehosta ei tarvita erillistä tutkimusta lapsilla.

Valmisteen turvallisuudesta lapsilla tarvitaan lisätietoja. Lapsia koskevia tutkimuksia ei kuitenkaan aloiteta ennen kuin aikuisten tutkimuksista on saatu riittävästi tuloksia, joiden perusteella päätellään, voidaanko lasten tutkimukset turvallisesti aloittaa. Lapsia koskevien tutkimusten odotetaan kyseisen valmisteen osalta valmistuvan vuoden 2020 loppuun mennessä.

Edistyneiden terapioiden asetuksen myötä uusia lääkehoidon mahdollisuuksia, kuten kantasoluhoitoja, tulee myös lasten sairauksien hoitoon. Tämä kehitys on vielä varsin hidasta, mutta jatkossa on odotettavissa myös muita lapsille soveltuvia kantasoluvalmisteita.

## Lue lisää:

Lisätietoa suunnitelmasta lapsilla tehtävistä tutkimuksista (Paediatric Investigation Plan): EMA/63059/2010.

[www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

Lisätietoa lastenlääkkeistä: [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu) > Special topics > Medicines for Children

### **Pirjo-Laitinen Parkkonen**

LKT, dosentti, anesthesiologian erikoislääkäri

Johtajaylilääkäri, Hyvinkään kaupunki, lastenlääkekomitean (PDCO) jäsen

### **Anne Paavola**

FaT

Erikoistutkija, Fimea

### **Merete Broms**

FM Lastenlääkkeiden koordinaattori, Fimea