

**INFLUENȚA REGULAMENTULUI PEDIATRIC  
EUROPEAN ASUPRA AUTORIZĂRII  
MEDICAMENTELOR ORFANE PENTRU COPII**

**Nicolaescu Veronica**

(Conducător științific: Zgîrcu Elena, asistent universitar,  
Catedra de farmacie socială "Vasile Procopișin")

**Universitatea de Stat de Medicină și Farmacie "Nicolae  
Testemițanu" din Republica Moldova**

**Introducere.** Medicamente utilizate în tratamentul bolilor rare sunt numite medicamente orfane. Dezvoltarea acestora este o provocare, din cauza diverșilor factori care limitează studiile clinice (numărul mic de pacienți, aspecte etice, diagnosticare întârziată și expertiză clinică limitată, precum și lipsa rentabilității investițiilor pentru o populație țintă mică). Dezvoltarea medicamentelor pentru copiii cu boli rare prezintă o provocare cu mult mai mare decât în cazul persoanelor adulte, din cauza necesității petrecerii studiilor clinice pe copii. La 26 ianuarie 2007 a intrat în vigoare Regulamentul Pediatric European (CE) nr 1901/2006, ce are ca obiectiv îmbunătățirea stării de sănătate a copiilor europeni prin facilitarea dezvoltării, accesibilității și utilizării în condiții de siguranță a noilor medicamente destinate copiilor.

**Scopul lucrării.** Determinarea numărului de medicamente orfane de uz pediatric autorizate până și după aprobarea Regulamentului Pediatric European.

**Material și metode.** Studiul literaturii de specialitate și analiza datelor cu privire la autorizarea medicamentelor orfane în Uniunea Europeană.

**Rezultate.** Începând cu anul 2000, au fost autorizate 94 medicamente orfane, dintre care, în prezent, 39 medicamente sunt autorizate pentru un anumit grup de copii. Până la aprobarea Regulamentului Pediatric European, 18 medicamente orfane erau indicate pentru uz pediatric. După aprobarea Regulamentului, din totalul medicamentelor orfane autorizate, 41 erau destinate copiilor afectați de boli rare.

**Concluzii.** Regulamentul Pediatric European a avut un impact major asupra autorizării și creșterii disponibilității medicamentelor orfane pentru copii și asigură, în continuare, dezvoltarea medicamentelor orfane de uz pediatric.

**Referințe bibliografice.**

1. <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-014-0120-x>
2. <http://www.ema.europa.eu>

**Cuvinte cheie.** Boli rare, medicamente orfane, regulamentul pediatric, copii.

**THE INFLUENCE OF THE EUROPEAN PAEDIATRIC  
REGULATION ON MARKETING AUTHORISATION  
OF ORPHAN DRUGS FOR CHILDREN**

**Nicolaescu Veronica**

(Scientific advisor: Zgîrcu Elena, assistant, Department of  
social pharmacy "Vasile Procopișin")

**Nicolae Testemitanu State University of Medicine and  
Pharmacy of the Republic of Moldova**

**Introduction.** Medicines used in the treatment of rare diseases are called orphan drugs. The development of such drugs is challenging, because of different factors that limit clinical studies (the small number of patients, ethical issues, delayed diagnostics, limited clinical expertise and the lack of return of investment in a small target population). The development of orphan drugs for children is more challenging than for adults, due to the necessity of clinical studies. The European Paediatric Regulation (EC) No 1901/2006 that came into force on 26 January 2007 has the objective to improve the health of European children by facilitating the development, accessibility and safe use of new drugs for children.

**The aim of the study.** To determine the number of authorized orphan drugs for children before and after of coming into force the European Paediatric Regulation.

**Material and methods.** The study of specialty literature and data analysis regarding the authorization of orphan drugs in European Union

**Results.** Since 2000, were authorized 94 orphan drugs, including 39 drugs for a special group of children. Before coming into force the European Paediatric Regulation, were authorized 18 pediatric orphan drugs, but after this, the number was practically doubled, being authorized 43 pediatric orphan drugs.

**Conclusions.** European Paediatric Regulation had an important impact on authorization and increasing of accessibility of orphan drugs for children affected by a rare disease and now it assures the development of pediatric orphan drugs.

**Bibliographical references.**

1. <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-014-0120-x>
2. <http://www.ema.europa.eu>

**Keywords.** Rare diseases, orphan drugs, paediatric regulation, children