www.printo.it/pediatric-rheumatology/CH_IT/intro

Le Terapie Farmacologiche

Versione 2016

Introduzione

Questa sezione contiene informazioni sulle terapie farmacologiche comunemente usate per trattare malattie reumatologiche pediatriche. Ogni paragrafo è diviso in 4 parti principali.

Descrizione

Questa sezione offre un'introduzione generale sul farmaco con il suo meccanismo di azione e gli effetti collaterali noti.

Dosaggio/modalità di somministrazione

Questa sezione indica il dosaggio del farmaco, di solito in mg/kg al giorno o mg/superficie corporea (metri quadrati), così come informazioni sulla modalità di somministrazione (es. pillole, iniezioni, infusioni).

Effetti collaterali

Questa sezione offre informazioni sugli effetti collaterali più noti.

Principali indicazioni delle malattie reumatologiche pediatriche

Questa sezione finale fornisce l'elenco delle malattie reumatologiche pediatriche per le quali è indicato il farmaco. Indicazione significa che il farmaco è stato specificamente studiato sui bambini e che le autorità normative, come per esempio l'Agenzia europea per i medicinali (EMA) o la Food and Drug Administration (FDA, Agenzia per gli alimenti e i medicinali) degli Stati Uniti, approvano il suo utilizzo sui bambini. In alcuni casi, il medico potrebbe decidere di prescrivere il farmaco anche se non è disponibile un'autorizzazione specifica.

Legislazione pediatrica, utilizzo off-label o secondo etichetta e possibilità terapeutiche future

Fino a 15 anni fa, tutti i farmaci usati per trattare l'AIG e molte altre

malattie pediatriche non erano stati adeguatamente studiati per i bambini. Questo significa che i medici prescrivevano i farmaci in base all'esperienza personale o in base a studi condotti su pazienti adulti. In effetti, in passato è stato difficile condurre studi clinici in reumatologia pediatrica, principalmente a causa della mancanza di fondi per studi sui bambini e alla mancanza di interesse da parte delle società farmaceutiche per questo piccolo e non remunerativo mercato pediatrico. La situazione è cambiata sensibilmente pochi anni fa grazie all'introduzione del Best Pharmaceuticals for Children Act negli Stati Uniti e della legislazione specifica per lo sviluppo di medicine pediatriche (Regolamento pediatrico) nell'Unione Europea (UE). Queste iniziative hanno in pratica costretto le società farmaceutiche a studiare i farmaci anche nei bambini.

Le iniziative USA e UE, insieme all'esistenza di 2 grandi reti, il Paediatric Rheumatology International Trials Organisation (PRINTO, Organizzazione internazionale di trial in reumatologia pediatrica, www.printo.it) che riunisce più di 50 paesi in tutto il mondo e il Paediatric Rheumatology Collaborative Study Group (Gruppo di studio collaborativo di reumatologia pediatrica, www.prcsg.org), con sede nel Nord America, hanno avuto un impatto molto positivo sulla reumatologia pediatrica, in particolare sullo sviluppo di nuovi trattamenti per bambini con AIG. Centinaia di famiglie di bambini con AIG trattati dai centri PRINTO o PRCSG in tutto il mondo hanno partecipato a questi studi clinici, consentendo a tutti i bambini con AIG di ricevere farmaci appositamente studiati per loro. A volte, la partecipazione a questi studi richiede l'uso di placebo (ovvero una compressa o un'infusione senza sostanza attiva) per garantire che il farmaco in fase di valutazione porti più benefici che rischi.

Grazie a queste importanti possibilità, oggi diversi farmaci sono stati specificatamente approvati per l'AIG. Questo significa che le autorità normative, come la Food and Drug Administration (FDA), l'Agenzia europea per i medicinali (EMA) e diverse autorità nazionali hanno esaminato le informazioni scientifiche derivanti dagli studi clinici e hanno consentito alle società farmaceutiche di affermare nelle etichette dei farmaci la loro efficacia e sicurezza per i bambini.

L'elenco di farmaci specificamente approvati per l'AIG include metotrexato, etanercept, adalimumab, abatacept, tocilizumab e canakinumab.

Altri farmaci sono attualmente in fase di studio o saranno studiati sui

bambini, quindi il vostro medico potrebbe chiedervi di partecipare a tali studi.
Esistono altri farmaci non ufficialmente approvati per l'uso nell'AIG, come alcuni antinfiammatori non steroidei (FANS), azatioprina, ciclosporina, anakinra e infliximab. Questi farmaci sono usati senza un'indicazione approvata (il cosiddetto uso off-label) e il vostro medico potrebbe proporvi il loro utilizzo soprattutto in assenza di altri trattamenti disponibili.

Adesione

L'adesione al trattamento è di grande importanza per il mantenimento di una buona salute sia nel breve, sia nel lungo termine.
L'adesione al trattamento comporta la conformità al trattamento prescritto dal proprio medico; ciò può includere diversi fattori: assunzione regolare del farmaco, controlli di routine presso la clinica, fisioterapia regolare, follow-up di routine con esami di laboratorio, ecc. Questi diversi componenti lavorano insieme creando un programma integrativo che combatte la malattia, rafforza il corpo del bambino e lo mantiene in salute. La frequenza e il dosaggio dei farmaci sono determinati dal bisogno di mantenere precisi livelli del farmaco nel corpo. La non adesione a questo protocollo può comportare livelli bassi e inefficaci dei farmaci e maggiori possibilità di ricomparsa. Per mantenere questa forma, è importante ricevere regolarmente sia iniezioni sia farmaci orali.
Il motivo più comune per il mancato successo del trattamento è la non conformità. L'adesione a tutti i dettagli del programma medico prescritto dal dottore e dall'équipe medica aumenta notevolmente le possibilità di remissione. Attenersi ai vari componenti del trattamento a volte può essere gravoso per i genitori e per i tutori. Ciononostante, sta a loro accertarsi che il bambino riceva le migliori possibilità per un esito positivo. Purtroppo, man mano che il bambino cresce, soprattutto quando entra nell'adolescenza, la mancanza di adesione diventa un problema più grave. Gli adolescenti hanno difficoltà a definire se stessi come "pazienti" e tendono a saltare le parti scomode del loro trattamento. Di conseguenza, le ricomparse sono molto comuni durante l'adolescenza. La conformità al regime di trattamento medico assicura le migliori possibilità per la remissione e il miglioramento della qualità della vita.

Nuovi farmaci sono in fase di sviluppo da parte di società farmaceutiche e ricercatori clinici appartenenti al Paediatric Rheumatology International Trials Organisation (PRINTO, Organizzazione internazionale di trial in reumatologia pediatrica) e al Paediatric Rheumatology Collaborative Study Group (PRCSG, gruppo di studio collaborativo di reumatologia pediatrica, www.prcsg.org). PRINTO e PRCSG sono impegnati nella revisione di protocolli, moduli di segnalazione casi, raccolta dati, analisi di dati e segnalazione di dati nella letteratura medica.
Prima che un nuovo farmaco possa essere prescritto, deve essere attentamente testato per valutare la sua sicurezza e la sua capacità di trattare i pazienti deve essere stabilita per mezzo degli studi clinici. In generale, lo sviluppo dei farmaci per i bambini segue quello per gli adulti, quindi a questo punto alcuni farmaci potrebbero essere disponibili soltanto per gli adulti. Con un numero crescente di farmaci a disposizione, l'uso off-label si dovrebbe verificare meno frequentemente. Potreste dare il vostro aiuto allo sviluppo di un nuovo farmaco partecipando a uno studio clinico.
Per ulteriori informazioni vi invitiamo a consultare i seguenti siti Web:
PRINTO www.printo.it www.pediatric-rheumatology.printo.it
PRCSG www.prcsg.org
Studi clinici in corso:
www.clinicaltrialsregister.eu/
www.clinicaltrials.gov
Piani per lo sviluppo di nuovi farmaci per i bambini in Europa:
www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/landing/pip_search.jsp&mid=WC0b01ac058001d129
Farmaci autorizzati per l'uso nei bambini:
www.ema.europa.eu
http://labels.fda.gov http://labels.fda.gov