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

Le Terapie Farmacologiche

Versione 2016

6. Ciclofosfamide

6.1 Descrizione

La ciclofosfamide è un farmaco immunosoppressore che riduce l'infiammazione e sopprime il sistema immunitario. Funziona interferendo con la moltiplicazione delle cellule, alterando la sintesi del DNA e quindi è particolarmente attiva su cellule come quelle del sangue, dei capelli, le cellule del rivestimento intestinale che proliferano molto attivamente (cellule che hanno bisogno di creare nuovo DNA per riprodursi). La ciclofosfamide colpisce principalmente i globuli bianchi, noti come linfociti e il relativo cambiamento della funzione e del numero spiega la soppressione della risposta immunitaria. La ciclofosfamide è stata introdotta nella terapia per trattare alcune forme di cancro. Nelle malattie reumatologiche, in cui viene usata nella terapia intermittente, ha meno effetti collaterali rispetto ai pazienti oncologici.

6.2 Dosaggio/modalità di somministrazione

La ciclofosfamide è somministrata per via orale (1-2 mg per kg al giorno) o più spesso per via endovenosa (di solito dosi di 0,5-1,0 g per metro quadro per 6 mesi, dopodiché 2 dosi ogni 3 mesi o, in alternativa, 500 mg per metro quadro ogni 2 settimane per un totale di 6 infusioni).

6.3 Effetti collaterali

La ciclofosfamide è un farmaco che riduce enormemente l'immunità e ha diversi effetti collaterali che necessitano un attento monitoraggio. I più comuni sono nausea e vomito. Si verifica un diradamento reversibile

dei capelli.
Si può verificare una riduzione eccessiva del numero di globuli bianchi in circolazione o delle piastrine e potrebbe necessitare adattamento della dose o interruzione temporanea del farmaco.
Si possono verificare alterazioni della vescica (sangue nelle urine) ma sono più comuni nel trattamento orale quotidiano che nelle iniezioni endovena mensili. Bere molta acqua aiuta a evitare questo problema.
Dopo l'iniezione endovena, sono di solito indicati grandi volumi di liquidi per ripulire il corpo dalla ciclofosfamide. I trattamenti a lungo termine presentano il rischio di diminuzione della fertilità e maggiore frequenza di cancro; il rischio di queste complicanze dipende dalla dose cumulativa del farmaco assunto dal paziente negli anni.
La ciclofosfamide riduce le difese immunitarie e quindi aumenta il rischio di infezioni, in particolare se data in associazione ad altri agenti che interferiscono con l'immunità, come dosi elevate di corticosteroidi.

6.4 Principali indicazioni nelle malattie reumatologiche pediatriche

Lupus eritematoso sistemico giovanile
Alcune vasculiti sistemiche.

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