

## טיפול תרופתי

גרסת 2016

### מבוא

סעיף זה כולל מידע לגבי הטיפולים התרופתיים שמשמשים לטיפול במחלות ראומטיות של הילדות. כל סעיף מחולק ל-4 חלקים עיקריים.

### תיאור

סעיף זה מהווה מבוא כללי לתרופה, מנגנון הפעולה שלה ותופעות הלוואי הצפויות שלה.

### מינון / דרך מתן התרופה

סעיף זה כולל מידע לגבי מינון התרופה, בדרך כלל ביחידות של מ"ג לק"ג ליום או מ"ג לשטח פנים של הגוף (מ"ר), כמו גם מידע לגבי דרך מתן התרופה (כגון נטילת כדורים, הזרקות, עירויים).

### תופעות לוואי

סעיף זה כולל מידע לגבי תופעות הלוואי השכיחות ביותר של כל תרופה.

### ההתוויות העיקריות לטיפול במחלות ראומטיות של הילדות

סעיף זה כולל את רשימת המחלות הראומטיות של הילדות עבורן קיימת התוויה של התרופה. התוויה משמעותה שהתרופה נחקרה באופן ספציפי בילדים, ורשויות רגולטוריות כמו ארגון התרופות האירופאי (EMA) או מנהל המזון והתרופות האמריקאי עשוי הרופא, מסוימים במקרים. בילדים בה שימוש את אישרו ב"ארה של (FDA) להחליט לרשום את התרופה גם אם אין אישור ספציפי עברה.

### חקיקה בתחום רפואת הילדים, שימוש לפי התוויה ושימוש שלא לפי התוויה הרשומה, ואפשרויות טיפול עתידיות

עד לפני 15 שנים, כל התרופות ששימשו לטיפול בדלקת מפרקים אידיופטית של הילדות ומחלות ילדות אחרות לא נחקרו היטב בילדים. משמעות הדבר היא שרופאים רשמו תרופות בהתאם לניסיונם האישי או בהתאם למחקרים שנעשו באנשים מבוגרים. אכן, בעבר היה קשה לערוך מחקרים בראומטולוגיית ילדים, בעיקר בשל קושי במימון המחקרים בילדים וחוסר העניין של חברות התרופות בשוק הילדים הקטן והבלתי מתגמל יחסית. המצב השתנה באופן דרמטי לפני מספר שנים, בעקבות חוק "התרופות הטובות ביותר לילדים" (Act Children for Pharmaceuticals Best) בארה"ב וחקיקה

ספציפית לפיתוח תרופות עבור ילדים באיחוד האירופי. יוזמות אלו למעשה הכריחו את חברות התרופות לחקור תרופות גם בילדים.

היוזמות בארה"ב ובאירופה, בשילוב עם פעילות שתי הרשתות הגדולות, PRINTO שכוללת (ילדים בראומטולוגיית בינלאומית מחקר קבוצת, PRINTO at www.printo.it-, מעל 50 מדינות ברחבי העולם, ו-PRCSG) (קבוצת מחקר משותפת בראומטולוגיית ילדים) שבסיסה בצפון אמריקה, השפיעו באופן חיובי ביותר על תחום ראומטולוגיית הילדים ובמיוחד על פיתוח טיפולים חדשים עבור ילדים עם דלקת מפרקים אידיופטית של הילדות. מאות משפחות של ילדים חולי דלקת מפרקים אידיופטית המטופלים במרכזי שאיפשר מה, הללו הקליניים במחקרים השתתפו העולם ברחבי PRCSG או PRINTO לכל הילדים עם המחלה לקבל טיפול בתרופות שנחקרו באופן ספציפי עבורם. לעתים, השתתפות במחקרים אלה דורשת שימוש בפלצבו (כלומר, גלולה או עירו ללא חומר פעיל) על מנת להבטיח שהתרופה הנחקרת מביאה יותר תועלת מאשר נזק.

בשל התקדמויות חשובות אלו, כיום מספר תרופות מאושרות באופן ספציפי עבור דלקת מפרקים אידיופטית של הילדות. משמעות הדבר היא שרשויות רגולטוריות, כמו ה-FDA וה-EMA וכן מספר רשויות ארציות, ערכו שינויים בעקבות הידע המדעי שנצבר ממחקרים קליניים אלו, ואיפשרו לחברות תרופות לציין בתווית התרופה שהיא יעילה ובטוחה לשימוש בילדים.

רשימת התרופות שאושר באופן ספציפי לדלקת מפרקים אידיופטית של הילדות כוללת מטוטרקסט, אטנרספט, אדלימומאב, אבטספט, טוסיליזומאב, קאנאקיניומאב. מספר תרופות נוספות נחקרות כעת או יחקרו בעתיד עבור שימוש בילדים, כך שרופא הילדים עשוי לבקש מילדך להשתתף במחקרים אלו.

קיימות תרופות אחרות שאינן מאושרות באופן מפורש לשימוש בדלקת מפרקים אידיופטית של הילדות, כגון מספר תרופות נוגדות דלקת שאינן סטרואידים (NSAIDs), אזתיופרין, ציקלוספורין, אנקינרה ואי נפליקסימאב. השימוש בתרופות אלו נעשה ללא התוויה מאושרת (label-off), ורופאך עשוי להמליץ עליהן בעיקר במקרים בהם לא קיימים טיפולים זמינים אחרים.

## היענות לתרופה

ההיענות לתרופה היא בעלת חשיבות עצומה בשמירה על בריאות, הן בטווח הקצר והן בטווח הארוך.

היענות לטיפול כפי שנקבע על-ידי הרופא כוללת מספר מרכיבים: נטילת התרופה על בסיס קבוע, בדיקות מעקב שגרתיות במרפאה, פיזיותרפיה על בסיס קבוע, ביצוע בדיקות מעבדה שגרתיות וכו'. מרכיבים אלו יוצרים ביחד תכנית משלימה למאבק במחלה, חיזוק גופו של הילד ושמירה על בריאותו. תדירות ומינון התרופות נקבעים במטרה לשמור על רמות מסוימות של התרופה בגוף. אי היענות לפרוטוקול הטיפול עשויה להביא לרמות נמוכות ולא יעילות של התרופה בדם, ולהעלות את הסיכון להתפרצות המחלה. כדי למנוע מזה לקרות, חשוב לקחת גם זריקות וגם תרופות פומיות (בכדורים) על בסיס קבוע.

הסיבה הנפוצה ביותר לחוסר הצלחה של הטיפול היא העדר היענות. היענות לכל פרטי

---

התכנית הרפואית שנרשמה על-ידי הרופא והצוות הרפואי מעלה באופן משמעותי את הסיכויים להפוגה של המחלה. הקפדה על כל מרכיבי הטיפול עשויה להקשות על הורי הילדים או גורמים אחרים המטפלים בילדים, אך עם זאת, אחריותם לדאוג לכך שהילד מקבל את התנאים הטובים ביותר שיאפשרו לו החלמה. למרבה הצער, ככל שגילו של הילד עולה, ובמיוחד בגיל ההתבגרות, חוסר היענות לטיפול נהיית בעיה קשה יותר. בני נוער מסרבים לראות את עצמם בתור מטופלים, ומדלגים על שלבים בטיפול שמסבים להם אי נוחות. בעקבות כך, מאוד שכיח לראות התפרצויות של המחלה במהלך שנים אלו. היענות לתכנית הטיפול הרפואית מבטיחה את הסיכויים הטובים ביותר להפוגה של המחלה ושיפור באיכות החיים.