

FARMACI E PEDIATRIA, SIFO NE PARLA A MILANO/ > IL PROBLEMA DI TUTTI QUEI BAMBINI “ORFANI” DI TERAPIA FOCUS SULLE TERAPIE OFF LABEL

“SERVE RETE NAZIONALE CHE UNISCA ESPERIENZE DI TUTTI I CENTRI PEDIATRICI ITALIANI”

Milano, 2 dicembre 2016 – Sapete cosa si intende quando si parla di bambini “orfani di terapia”? Sono quei piccoli pazienti che rischiano di rimanere senza cure per il problema legato alla scarsità di farmaci studiati ed immessi in commercio per la fascia pediatrica. E sono tanti, dal momento che non solo i farmaci progettati specificamente per curare i bambini sono limitati, ma sono poche le aziende farmaceutiche che investono in studi di ricerca per approfondire gli effetti dei farmaci sui più piccoli. Ecco perché è quanto mai opportuno parlare della questione delle prescrizioni “off-label”, pressoché ‘inevitabili’ in ambito pediatrico: si tratta di tutti quei casi in cui, nella cura di una patologia, vengono impiegati farmaci con modalità diverse da quelle autorizzate o non studiati specificatamente nella popolazione pediatrica. Possono essere farmaci nati in realtà per un altro disturbo, ma che le evidenze cliniche dimostrano essere di consolidata efficacia anche in altri casi. Oppure medicinali indicati solamente per l’età adulta e che vengono ‘adattati’, nella posologia, per essere somministrati ai minori di 18 anni: una casistica, questa, che rispecchia il 70% delle prescrizioni fatte dai medici pediatri.

A questo argomento SIFO, la Società dei farmacisti ospedalieri e dei servizi territoriali delle aziende sanitarie, dedica un focus nell’ambito del XXXVII congresso nazionale in corso in questi giorni a Milano, con una sessione dal titolo “Ebm e legislazione in pediatria: due ordini di grandezza per un solo problema – La terapia farmacologica nel paziente pediatrico”. A fare il punto saranno medici e farmacisti, che metteranno a fuoco il problema e si confronteranno ragionando sull’attuale legislazione, sui casi ‘indimenticabili’ e sulle possibili prospettive future, cercando di capire, insieme, le proposte per una soluzione del problema.

TERAPIE ‘OFF LABEL’ IN PEDIATRIA – L’incidenza dell’utilizzo off-label in età pediatrica è molto più alta di quello che si crede: varia dall’11 all’80%, a seconda dei contesti clinici: è tra l’11 e il 37% in ambito ambulatoriale, va dal 16 al 62% nei reparti di pediatria generale e supera l’80% nelle terapie intensive pediatriche e neonatologiche. Come mai percentuali così alte? Perché quella pediatrica è una fascia di popolazione ristretta (come anche le donne in gravidanza, o i neonati prematuri), per cui sono pochi i farmaci creati ad hoc solo per essa. E analogamente, per ragioni etiche, statistiche e commerciali, sono pochi gli studi clinici dedicati all’impiego di farmaci in questa età. Si sottolinea, comunque, che utilizzare una terapia in modalità off-label, quindi al di fuori dalle indicazioni terapeutiche ufficiali, non è sinonimo di comportamento ‘azzardato’. Quasi sempre, i farmaci vengono impiegati a fronte di una consolidata evidenza clinica, riconosciuta negli anni da fonti scientifiche accreditate. Nonostante questo, però, si continua a parlare di ‘off-label’ per ragioni formali, ad esempio perché non si è ancora provveduto ad aggiornare la scheda tecnica del farmaco e le indicazioni non sono state allargate anche alla popolazione pediatrica.

COSA SI PUO’ FARE O NON FARE – Le leggi che regolano l’utilizzo di farmaci off label sono ancora molto stringenti in Italia e spesso medici e farmacisti si trovano di fronte a dei veri e propri vicoli ciechi, anche avendo dalla propria una letteratura scientifica consolidata (Evidence Based Medicine). E molto spesso questo si intreccia anche ad un aspetto di spesa e sostenibilità, per le strutture ospedaliere coinvolte nella gestione di questi casi. Che fare di fronte a questi ‘dilemmi’? Curare un bambino o non curarlo? Di tutto questo si parlerà durante la sessione del congresso SIFO, che non solo farà il punto sulle leggi italiane ed europee, ma sarà l’occasione per ripercorrere una serie di ‘casi indimenticabili’. Dove un farmaco usato in modo ‘inappropriato’ ha potuto salvare la vita di bambini altrimenti incurabili.

QUALCHE ESEMPIO – Cosa fare quando il bambino con gastroenterite vomita e non risponde alla reidratazione orale ma c’è un farmaco raccomandato da meta-analisi e revisioni sistematiche in letteratura eppure non ancora licenziato in Italia? Cosa fare quando nella profilassi delle infezioni fungine in pazienti oncologici esistono farmaci efficaci che non hanno ancora un’indicazione pediatrica? Cosa fare quando alcune malattie genetiche e rare portano a osteopenia ed osteoporosi nei pazienti pediatrici, ma i farmaci per l’osteoporosi hanno solo indicazione negli adulti? Cosa fare quando un paziente già affetto da Fibrosi Cistica e trapiantato di polmone rischia la vita per un peggioramento delle sue condizioni, ma esiste un farmaco che potrebbe portare ad un miglioramento della sua funzionalità polmonare?

SIFO: “UNIRE LE ESPERIENZE DI TUTTI I CENTRI PEDIATRICI IN ITALIA” – Uno degli aspetti prioritari legati all’utilizzo off-label di medicinali in ambito pediatrico è la catalogazione delle reazioni avverse, che sono potenzialmente più frequenti di quanto non avvenga quando i farmaci vengono impiegati secondo le indicazioni autorizzate. Questo è dovuto al fatto che il processo di raccolta delle informazioni, nell’off-label, non è ancora ben definito e ad oggi si basa quasi esclusivamente sulle segnalazioni spontanee. Dal congresso SIFO sarà rilanciata la proposta di implementare il sistema di controllo e valutazione delle prescrizioni off-label in pediatria, potenziandolo, creando una banca dati approfondita. “Creare un database aggiornato delle prescrizioni off-label con il coinvolgimento di tutti i centri pediatrici italiani permetterebbe di raccogliere una notevole

documentazione e un aggiornamento in tempo reale sulla sicurezza di impiego ed efficacia dei medicinali in ogni fascia d'età", afferma Davide Za non, coordinatore Galenica clinica SIFO e moderatore della sessione dedicata alla pediatria. "L'utilizzo di farmaci off label prevede un'assunzione di responsabilità specifica da parte del medico prescrittore, attraverso la compilazione di una richiesta motivata. La sessione intende portare l'attenzione delle istituzioni e delle aziende farmaceutiche una problematica che rischia altrimenti di rimanere un problema a carico del medico che prescrive, del farmacista che allestisce la terapia e, in ultima analisi, dei piccoli pazienti che necessitano di cure" afferma Maria Grazia Cattaneo, presidente del Congresso.

CHI SONO I FARMACISTI DI SIFO - La società scientifica SIFO, che conta oltre 3.000 iscritti, raccoglie la quasi totalità dei farmacisti pubblici dipendenti dal Servizio sanitario nazionale e quelli dipendenti dalle strutture ospedaliere private. Sono i farmacisti ospedalieri che, dopo un percorso universitario di base e un periodo di specializzazione che nell'insieme durano circa nove anni, si occupano di seguire il processo di acquisto, gestione e distribuzione di tutti i beni farmaceutici, per assicurare ai pazienti un'assistenza farmaceutica sicura, appropriata ma anche sostenibile per il Sistema sanitario nazionale. E dalle loro mani passa la stragrande maggioranza della spesa sanitaria nazionale.