

2007: l'anno dei farmaci per i bambini?

Maurizio Bonati

Responsabile Laboratorio per la Salute Materno-Infantile, IRFMN, Milano

Parole chiave Reazioni avverse. Farmaci off-label. Lista essenziale dei farmaci. AIFA. EMEA

Il Rapporto congiunto UNICEF-OMS *Essential medicines for children* dell'agosto 2006 affermava: "I bambini non sono dei piccoli adulti quando assumono i farmaci. Le modalità di assunzione, l'assorbimento, il metabolismo e l'escrezione dei farmaci nel bambino sono diversi da quelli dell'adulto. Questi fattori non sono costanti, ma variano con l'età. Si ricordi che la maggioranza dei farmaci nel mondo non è stata messa in commercio per essere somministrati ai bambini". L'uso dei farmaci nella popolazione pediatrica presenta particolari ed esclusive caratteristiche: la maggioranza delle prescrizioni è fatta in ambito extraospedaliero; l'efficacia clinica e la sicurezza d'uso in questa popolazione di pazienti sono poco documentate in quanto, sia per motivazioni etiche che per le caratteristiche (sintomatiche e autolimitanti) della maggioranza delle malattie, gli studi clinici controllati che coinvolgono bambini sono scarsi; molto spesso i farmaci vengono utilizzati nei bambini senza che siano stati registrati a tal fine (*off-label*) oppure a dosaggi inappropriati o, fatto preoccupante, al di fuori delle evidenze documentate di efficacia e sicurezza. I bambini risultano ancora come una popolazione largamente sconosciuta per quanto concerne l'uso razionale dei farmaci, perché ancora poco contaminata dalla conoscenza basata sulla metodologia delle evidenze scientifiche. Questa situazione critica non è peculiare della realtà italiana, ma comune a livello internazionale, come il Rapporto UNICEF-OMS ribadiva, quasi ad annunciare l'approvazione di una serie di provvedimenti legislativi e l'attivazione di iniziative, in particolare europee, volti a cancellare quella "disattenzione" nei confronti dei farmaci per i bambini e che possono essere così riassunti:

- a. dicembre 2006: viene approvato il "Regolamento europeo per la sperimentazione di farmaci per i bambini";
- b. gennaio 2007: entrano in vigore le "Linee guida per la conduzione di studi di

farmacovigilanza per i farmaci utilizzati nella popolazione pediatrica";

- c. maggio 2007: viene approvata nel corso dell'Assemblea dell'OMS la risoluzione *Better medicines for children* che descrive alcune strategie per migliorare l'accesso ai farmaci essenziali adeguati per qualità alla popolazione pediatrica;
- d. luglio 2007: viene stilata la prima lista di farmaci essenziali a uso pediatrico (200 farmaci, 450 formulazioni);
- e. settembre 2007: viene pubblicato il documento tecnico OMS "*Promoting safety of medicines for children*".

I bisogni (e il diritto) dei bambini di disporre di farmaci efficaci e sicuri e utilizzati in modo razionale dovrebbero essere quindi evasi, anche se i tempi necessari non saranno brevi. Nel frattempo, a livello nazionale, alcuni provvedimenti sono già stati presi e altri lo saranno in un prossimo futuro.

I rapporti annuali sul monitoraggio delle prescrizioni farmaceutiche prodotti dall'Osservatorio Nazionale sull'Impiego dei medicinali (OsMed) e dal Progetto ARNO indicano che tre visite pediatriche ogni quattro esitano con almeno due prescrizioni di farmaci, e che la spesa di uno di questi è a carico della famiglia. Sarà compito dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), anche attraverso l'apposito gruppo di lavoro "Farmaci e bambini" costituito nel 2006, definire un programma condiviso con le Regioni di monitoraggio attento e costante dell'uso razionale dei farmaci nella popolazione pediatrica che favorisca quei prodotti di documentata efficacia e sicurezza e minor costo. Infatti, troppo spesso (2-10% delle prescrizioni), l'uso dei farmaci nei bambini è associato a un rischio di reazioni avverse anche gravi che possono richiedere un accesso al pronto soccorso o un ricovero ospedaliero o il protrarsi della degenza. Alcune gravi reazioni avverse, seppur raramente, risultano anche fatali. Spesso la comparsa di reazioni avverse nella popolazione pediatrica è associata all'uso *off-label* dei farmaci. I medici hanno il dovere di prescrivere un farmaco nel miglior interesse dei loro pazienti e segnalare la comparsa di eventuali reazioni avverse per comprendere

e prevenire questi episodi in tutta la popolazione.

Proprio la valutazione dell'utilizzo *off-label* dei farmaci e quella delle segnalazioni delle reazioni avverse giunte all'attenzione della Rete Nazionale di Farmacovigilanza costituiscono due delle attività prioritarie del gruppo di lavoro dell'AIFA "Farmaci e bambini". I risultati di esito dei primi mesi di lavoro sono rappresentati da 3 note informative importanti per la popolazione infantile, stilate dall'AIFA nel corso del 2007:

- a. è stata introdotta una nuova controindicazione relativa all'uso di specialità medicinali decongestionanti nasali a base di simpaticomimetici per uso topico nei bambini al di sotto di 12 anni;
- b. sono state emanate nuove informazioni di sicurezza relative all'utilizzo di Panacef/Cefaclor e all'aggiornamento del Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto;
- c. sono state emesse nuove importanti informazioni relative all'uso della specialità medicinale Minirin/DDAVP (desmopressina) nella formulazione spray nasale.

Il lavoro di valutazione dei decongestionanti nasali è stato oggetto di un articolo formale pubblicato su alcune riviste nazionali (Quaderni acp 2007;14:154) e in corso di pubblicazione anche a livello internazionale. Inoltre, è in fase conclusiva la valutazione delle segnalazioni riguardanti l'uso di antitimetici, in particolare la metoclopramide e il domperidone. Complessivamente si tratta di formare un approccio metodologico nuovo che caratterizza l'attenzione rivolta alla popolazione pediatrica da parte dell'Agenzia Nazionale sul Farmaco che prevede anche la programmazione di interventi educativi e formativi, partecipati e condivisi, rivolti agli operatori sanitari, ai familiari e agli stessi pazienti (seppur piccoli), con l'obiettivo di rendere l'assistenza prestata, e ricevuta, nell'ambito del SSN più aderente ai bisogni di salute della popolazione pediatrica, somministrando farmaci secondo criteri di appropriatezza, di efficacia, di sicurezza e di economicità. ♦

Per corrispondenza:
Maurizio Bonati
e-mail: mother_child@marionegri.it

editoriale