

# Bambini, malattie (più o meno) trascurate e accesso ai farmaci: cattive nuove e buone nuove

Antonio Clavenna, Filomena Fortinguerra, Daniele Piovani  
Centro d'Informazione sul Farmaco e la Salute, Istituto di Ricerche Farmacologiche "Mario Negri", Milano

## AIDS: i bambini sono ancora orfani di terapia

Nel corso del 2010, 250.000 bambini sono morti di complicazioni legate all'HIV e meno di un quarto di bambini sieropositivi o con HIV ha ricevuto un trattamento farmacologico: è quanto emerge dal rapporto dell'Organizzazione Mondiale della Sanità (OMS) pubblicato in occasione della giornata mondiale dell'AIDS. Sono diversi i fattori che rendono ancora oggi l'infezione da HIV pediatrica una malattia "trascurata": la mancanza di accesso delle mamme alle cure prenatali, al test dell'HIV e agli antiretrovirali per la terapia e per la prevenzione della trasmissione materno-fetale. Ma una delle cause principali è la mancanza di formulazioni adatte ai bambini, in particolare neonati e lattanti, come sottolineato dall'organizzazione no-profit *Drugs for Neglected Diseases initiative* (DNDi).

L'OMS raccomanda il trattamento immediato con gli antiretrovirali in tutti i bambini sieropositivi di età inferiore a 2 anni, ma per la maggior parte dei farmaci approvati per gli adulti non sono ancora stati valutati la sicurezza di impiego e il dosaggio in questa fascia di età. Le formulazioni pediatriche attualmente disponibili sono, inoltre, poco palatabili, richiedono diluizioni ripetute, devono essere conservate in frigorifero e non consentono la co-somministrazione con farmaci antitubercolari.

Per tale motivo, la DNDi ha intrapreso un programma di ricerca con lo scopo di sviluppare formulazioni adatte ai bambini di età inferiore a 3 anni. Idealmente queste formulazioni dovrebbero essere facili da somministrare e meglio tollerate di quelle già disponibili, stabili al calore, facilmente dispersibili, e compatibili con altri farmaci (in particolare con gli antitubercolari).

*Drugs for Neglected Diseases initiative (DNDi)*  
<http://www.dndi.org/press-releases/1015-aids-day.html>

## Un nuovo farmaco per il trattamento del Chagas nei bambini

Nel dicembre 2011 una nuova formulazione di benznidazolo è stata registrata in Brasile (e dovrebbe esserlo a breve in altri Paesi del Sudamerica) per il trattamento del morbo di Chagas nei bambini. Si tratta di una compressa da 12,5 mg facilmente dispersibile e adatta per i bambini fino ai

2 anni di età, da somministrare in numero da uno a tre/die in base al peso corporeo.

Lo sviluppo di questa nuova formulazione è stato reso possibile dalla collaborazione tra *Drugs for Neglected Diseases initiative* (DNDi) e il *Laboratório Farmacêutico do Estado de Pernambuco* (LAFEPE) del Brasile.

In precedenza, il benznidazolo era disponibile solo come compresse da 100 mg per adulti, e il trattamento pediatrico richiedeva la divisione in piccole parti e la frantumazione della compressa. La polvere veniva poi sciolta in succo di frutta o acqua e somministrata due volte al giorno per 60 giorni. Questo comportava errori di dosaggio e scarsa aderenza alla terapia.

Questa nuova formulazione consente di disporre di un trattamento più semplice da somministrare e più sicuro nei neonati e nei bambini di età inferiore a 2 anni, che potranno ricevere un dosaggio più accurato.

Il morbo di Chagas è una malattia parassitaria causata dal parassita *Trypanosoma cruzi*, trasmesso attraverso il morso di una cimice (o attraverso trasfusioni con sangue infetto, trapianti e trasmissione materno-fetale), che colpisce tra 8 e 10 milioni di persone, principalmente in America Latina, causando 12.000 morti all'anno. I bambini sono particolarmente ad alto rischio di infezione, principalmente attraverso la trasmissione materno-fetale, e il trattamento con benznidazolo nel primo anno di vita consente di eliminare il parassita nel 90% dei casi.

Alla buona notizia ne va, però, associata una cattiva. Il benznidazolo è prodotto esclusivamente dall'azienda pubblica brasiliana LAFEPE, che nell'ottobre 2011 aveva sospeso la produzione, con una conseguente riduzione delle scorte, complicando il già difficoltoso accesso ai farmaci per molti malati di Chagas nel mondo. Le proteste di associazioni, organizzazioni non governative e governi hanno costretto i brasiliani a riprendere la produzione. Ma fino a quando?

*Drugs for Neglected Diseases initiative (DNDi)*  
<http://dndi.org/press-releases/1016-paedbenz.html>

## ... E in Italia scompare la penicillina intramuscolo

Il giugno 2011, con la pubblicazione sulla *Gazzetta Ufficiale*, è stata autorizzata la commercializzazione di una nuova formulazione di benzilpenicillina benzatinica per uso intramuscolare: una siringa preimpilata da 2,5 ml (contenente 1.200.000 UI di

farmaco). Questa formulazione, autorizzata come medicinale in classe C con un costo pari a 24 euro, ha sostituito quella precedente (fiala polvere 1.200.000 UI + fiala solvente 4 ml) dal costo di 1,96 euro a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale.

La mancata rimborsabilità del farmaco, probabilmente dovuta al falso accordo in sede di negoziazione sul prezzo del farmaco tra Agenzia Italiana del Farmaco e ditta produttrice, priva i pazienti in profilassi con la penicillina (principalmente per malattia reumatica) di un farmaco "essenziale", con una spesa per le famiglie dei bambini stimabile in circa 290 euro/anno. In alcune ASL il servizio farmaceutico si è fatto carico della fornitura del medicinale attraverso il regime di distribuzione diretta. In attesa di una soluzione di questa vicenda, la strada da percorrere è che la ASL attivi la distribuzione gratuita.

## Farmaci per i bambini: opuscoli informativi per genitori e accompagnatori

La *WellChild*, il *Royal College of Paediatrics and Child Health* (RCPCH), e il *Neonatal and Paediatric Pharmacists Group* (NPPG) hanno lanciato *Medicines for Children*, un sito web pubblico ([www.medicinesforchildren.org.uk](http://www.medicinesforchildren.org.uk)) che si propone di aiutare i genitori nell'utilizzo dei farmaci per i loro bambini. Le informazioni sono presentate sotto forma di brevi foglietti informativi, visualizzabili e scaricabili in formato pdf, realizzati secondo un modello sviluppato e progettato insieme da pediatri di famiglia, farmacisti e genitori.

*Medicines for Children* attualmente fornisce informazioni pratiche e affidabili sull'uso di oltre 100 medicinali essenziali per i bambini. I foglietti rispondono alle domande più comuni sulle modalità di utilizzo dei medicinali, su cosa fare se si dimentica di dare il farmaco o se questo viene somministrato erroneamente più volte, e informazioni su eventuali effetti collaterali e uso off-label. Sono inoltre disponibili informazioni generali sulla corretta modalità di somministrazione dei farmaci e sulla gestione di alcune patologie di comune riscontro in età pediatrica.

La ricerca può essere effettuata per nome del principio attivo, marca del medicinale, o malattia. Infine, il RCPCH si impegna a garantire la costante revisione dei foglietti in modo che le informazioni siano sempre aggiornate, pertinenti e accurate, sulla base delle prove scientifiche.

<http://www.medicinesforchildren.org.uk/>

Per corrispondenza:

Antonio Clavenna

e-mail: [antonio.clavenna@marionegri.it](mailto:antonio.clavenna@marionegri.it)