

Le priorità della ricerca in Pediatria non sono dettate dai bisogni terapeutici

Antonio Clavenna, Filomena Fortinguerra, Daniele Piovani

Laboratorio per la Salute Materno-Infantile, Dipartimento di Salute Pubblica, IRCCS-Istituto di Ricerche Farmacologiche "Mario Negri", Milano

I bisogni dei bambini sono ancora trascurati negli studi clinici sui farmaci

Il processo di finanziamento della ricerca clinica dovrebbe favorire quelle condizioni patologiche responsabili del maggior carico di malattia. Questo è particolarmente importante per i pazienti pediatrici, che sono sempre stati trascurati dalla ricerca clinica, dallo sviluppo e dalle procedure di registrazione dei farmaci.

Secondo uno studio condotto da alcuni ricercatori americani, che ha valutato la correlazione tra il numero di sperimentazioni cliniche pediatriche e il peso della malattia (misurato in "Disability Adjusted Life Year", DALY) per identificare le aree trascurate dalla ricerca, quasi il 60% delle malattie gravi colpisce i bambini, ma solo il 12% degli studi clinici sui farmaci è condotto su pazienti pediatrici.

Dall'analisi degli studi attivi nel periodo 2006-2012 registrati nella banca dati *ClinicalTrials.gov* sono stati identificati 5373 studi clinici pediatrici: di questi 3771 erano randomizzati (RCT) e 1526 riguardavano terapie farmacologiche. Il 77% degli RCT era condotto in Paesi ad alto reddito, nonostante solo il 2% del numero totale di DALY riguardasse queste nazioni. Viceversa, solo l'8% degli studi era condotto in Paesi a basso reddito, che scontano il maggior carico di malattia (73% del totale).

Il maggior numero di sperimentazioni riguardava le malattie neuropsichiatriche (874, 19%) e le malattie infettive (847, 18%). La correlazione tra il numero di studi per patologia e il carico in DALY è risultata solo moderata ($r = 0,58$; $p = 0,006$).

Confrontando il numero osservato di studi e quello atteso sulla base del carico di malattia, gli Autori hanno identificato come condizioni maggiormente trascurate dalla ricerca i traumi (-260 studi per i traumi accidentali e -160 per quelli intenzionali), le carenze nutritive (-175 studi), e le infezioni respiratorie (-171 studi). Al

contrario, gli studi sui disturbi neuropsichiatrici erano superiori all'atteso (+524).

Secondo gli Autori è necessario che l'agenda della ricerca pediatrica sia maggiormente allineata ai bisogni terapeutici, soprattutto di quelli dei bambini dei Paesi a basso reddito che appaiono attualmente trascurati dalle sperimentazioni.

Bourgeois FT, et al. Association Between Pediatric Clinical Trials and Global Burden of Disease. Pediatrics 2014;133:78-87.

Le mini-compresse ben tollerate nei bambini sopra i 6 mesi di età

Nei bambini sotto i 6 anni di età le formulazioni di scelta per la somministrazione dei farmaci per os sono le soluzioni orali o gli sciroppi. Tuttavia queste ultime presentano degli svantaggi rispetto alle compresse quali la minore stabilità chimico-fisica e microbiologica, il gusto, la mancanza di rilascio controllato, un numero limitato di eccipienti sicuri e un dosaggio inaccurato.

Un gruppo di ricerca tedesco ha recentemente condotto uno studio clinico randomizzato controllato, cross-over, al fine di verificare l'accettabilità da parte di bambini di età compresa tra 6 mesi e 6 anni di età di mini-compresse da 2 mm di grandezza (rivestite con film e non rivestite) rispetto a 3 ml di sciroppo. Sono stati inclusi nello studio 306 bambini.

L'accettabilità delle mini-compresse è risultata superiore a quella dello sciroppo del 14,8% (IC 95%: 10,2-19,4; $p < 0,0001$) per le compresse non rivestite e del 14,9% (IC 95%: 10,4-19,5; $p < 0,0001$) per quelle rivestite. Anche la capacità di deglutire le mini-compresse è risultata superiore a quella dello sciroppo, con una differenza del 12,3% (IC 95%: 5,4-19,3; $p = 0,0008$) rispetto allo sciroppo considerando tutti i gruppi di età inclusi.

Le tre forme farmaceutiche erano prive di principio attivo e sono state ben tollerate. Nessuno dei 306 bambini ha tossito durante la deglutizione dello sciroppo o delle mini-compresse non rivestite, allor-

ché 2 bambini (di età tra i 6 mesi e un anno) hanno tossito mentre deglutivano le mini-compresse rivestite, in entrambi i casi senza rilevanza clinica. Le mini-compresse sono dunque una forma farmaceutica ben tollerata nei bambini in età prescolare e possono risultare utili in quei casi in cui lo sciroppo presenta svantaggi di preparazione, somministrazione o stabilità.

Klingmann V, et al. Favorable acceptance of mini-tablets compared with syrup: a randomized controlled trial in infants and preschool children. J Pediatr 2013;163:1728-1732.e1.

AIFA lancia la banca dati dei farmaci

È online dal 13 novembre 2013 la banca dati dei farmaci dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), che raccoglie i fogli illustrativi aggiornati e il riassunto delle caratteristiche del prodotto per i farmaci commercializzati in Italia. Al momento sono disponibili circa 16.000 documenti relativi a oltre 66.000 specialità medicinali. Per ciascun medicinale è disponibile una scheda aggiornata con il numero di autorizzazione all'immissione in commercio, l'elenco delle confezioni disponibili, il relativo stato autorizzativo (autorizzato, sospeso o revocato).

La banca dati è consultabile liberamente; è possibile effettuare la ricerca sia per nome del principio attivo che per nome commerciale del medicinale, ed è possibile scaricare il foglietto illustrativo e il riassunto delle caratteristiche del prodotto in formato pdf.

La banca dati dei farmaci online è uno dei progetti AIFA che mira ad aumentare la trasparenza e il consolidamento dei suoi sistemi informativi all'interno di un'unica piattaforma. Questo servizio sarà disponibile anche su dispositivi mobili (smartphone, tablet) grazie a un'applicazione che AIFA sta sviluppando, nell'ottica del potenziamento e dell'implementazione di nuovi canali di comunicazione tra l'agenzia e gli operatori sanitari.

<http://farmaci.agenziafarmaco.gov.it/aifa/servlet/HomeDispatcher#>

Per corrispondenza:
Antonio Clavenna
e-mail: antonio.clavenna@marionegri.it