



Istituto Giannina Gaslini

ISTITUTO PEDIATRICO DI RICOVERO E CURA A CARATTERE SCIENTIFICO



FARMACI BIOLOGICI E PEDIATRIA

16 maggio 2014

PATOLOGIE PEDIATRICHE

- **AIG Artrite reumatoide giovanile: prevalenza 113/100.000**
- **Spondilite anchilosante: prevalenza 11-86/100.000**
- **Lupus eritematoso sistemico: prevalenza 4-250/100.000**
- **Dermatomiosite giovanile**
- **Sclerodermia patologia rara**
- **Malattia di Bechet**
- **Poliartrite nodosa**
- **Vasculiti (Takayasu, Wegener)**
- **M. Kawasaki**

- **Morbo di Crohn**
- **Colite ulcerosa**

Conseguenze sulla qualità di vita (dolori articolari ancora presenti nel 30% dei pz con AIG 15 anni dopo l'esordio della malattia).

Alti costi per le famiglie.

Efficacia e tollerabilità dei farmaci spesso da studi non controllati.

Ruperto et al, *J Rheumatol* 1997

FARMACI BIOLOGICI

Etanercept
Adalimumab
Anakinra
Tocilizumab
Rituximab

Dal **14/05/2014** nuova indicazione terapeutica approvata per la formulazione pediatrica:
M. di Crohn/ Colite Ulcerosa

Etanercept e Adalimumab sono disponibili come formulazioni pediatriche: polvere e solvente da ricostituire

Criticità: uguali indicazioni terapeutiche e diversa formulazione

ENBREL 25 mg siringa preriempita

Eccipienti:

- Saccarosio
- Sodio cloruro
- L-arginina cloridrato
- Sodio fosfato monobasico diidrato
- Sodio fosfato dibasico diidrato

Acqua per preparazioni iniettabili



Scarsa compliance di numerosi pazienti a causa di dolore acuto durante la somministrazione: rischio di interruzione della terapia.

ENBREL 25 mg polvere da ricostituire

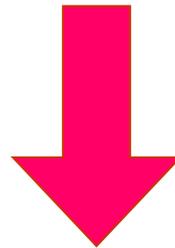
Eccipienti polvere:

- Mannitolo (E421)
- Saccarosio
- Trometamolo

Acqua per preparazioni iniettabili

UTILIZZI *OFFLABEL* DEI FARMACI BIOLOGICI IN IGG

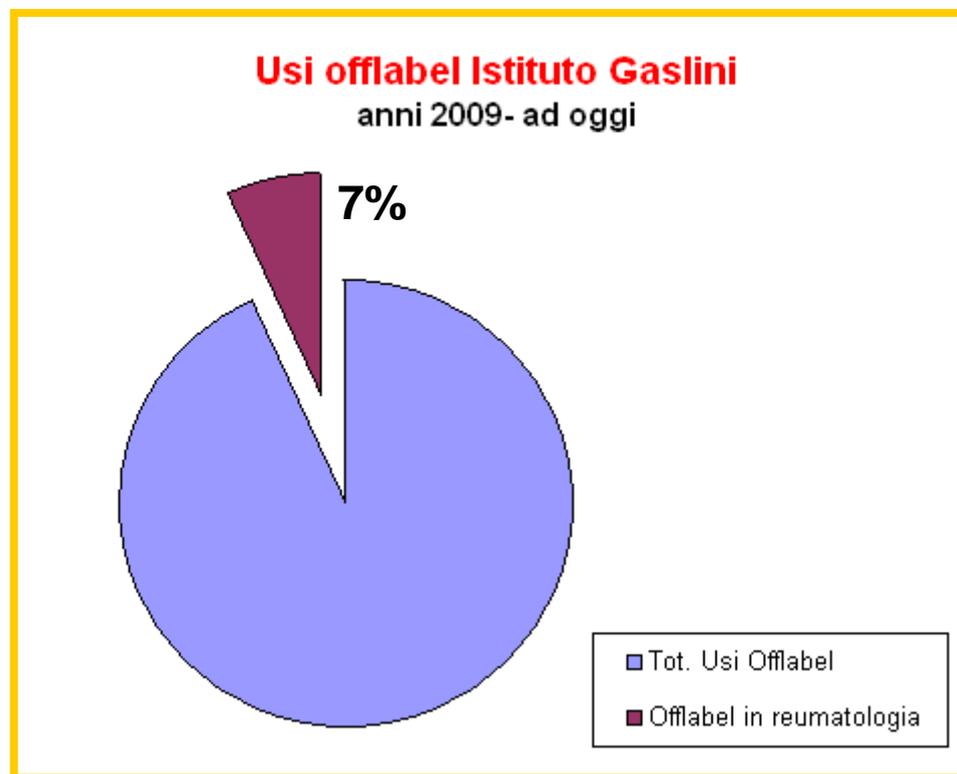
- La prescrizione dei farmaci ai pazienti pediatrici, costituisce da sempre un problema.
- Esiguità delle sperimentazioni cliniche condotte nei pazienti under 18.



Nell'Ottobre 2008 istituito in IGG il
Comitato Buon Uso del Farmaco (CBUF)
quale organismo di controllo e monitoraggio degli usi offlabel

UTILIZZI *OFFLABEL* DEI FARMACI BIOLOGICI IN IGG

Dal 2009 ad oggi, il 7% degli usi *offlabel* riguarda farmaci biologici utilizzati in patologie autoimmuni.



PRINCIPALI INDICAZIONI TERAPEUTICHE *OFFLABEL*



18 usi offlabel di Humira

8 usi offlabel di Enbrel

1 uso offlabel di Kineret

Humira

Morbo Chron
Colite Chron Like
IBD early onset
PAPA syndrome

Kineret

PAPA Syndrome

Enbrel

Poliarterite nodosa
AIG

Nuova indicazione
terapeutica: AIG
ottobre 2012

MABTHERA: SCHEDA DI SOMMINISTRAZIONE

DATA:/...../.....

Paziente:

Nome:	Cognome:	nato/a il:
Peso kg		statura cm
S.C.		

Farmaco:

Mabthera mg pari a 375 mg/mq

			Firma medico	Firma infermiera
ETICHETTA_PZ	ETICHETTA FARMACIA			
Volume diluizione da infondere.....	500 ml			
Durata infusione.....	8 h			
Prima mezzora velocità infusione.....	9 ml/h			
Seconda mezzora velocità infusione.....	18 ml/h			
Terza mezzora velocità infusione.....	36 ml/h			
Successive 6.5 ore velocità infusione.....	72 ml/h			
Premedicazione: ..-	Trimeton fiale:	mg		
	- Solumedrol fiale:	mg		
	in 50 ml SF in 15 minuti			
	- Tachipirina sosp/cp:	mg per os		
A metà infusione: ..-	Trimeton fiale	mg		
Al termine:	Trimeton fiale:	mg		
	- Solumedrol fiale:	mg		
	in 50 ml SF in 15 minuti			

	Temperatura	P.A.	Polso/Respiro	Saturazione	Varie
Inizio_ore					
Dopo					Fine infusione h:

PRINTO



Paediatric Rheumatology International Trials Organisation

Maggio 1996

OBIETTIVO: sperimentare nuovi trattamenti per bambini con malattie reumatiche

