



**PRESCRIVIBILITA' DEI FARMACI
NORME ED UNIFORMITA'
D' APPLICAZIONE
ACICASTELLO (CT) 13 gennaio 2017**

**Applicazioni pratiche e criticità nell'uso
off-label dei farmaci**

dr. H. Aliferopulos



Mentre per le patologie rare esistono delle normative ben definite per l'uso dei farmaci cosiddetti "Orfani" nell'uso dei farmaci in off-label pur avendo delle normative anche in questo caso piuttosto precise la discrezione del clinico trova spesso degli ampi spazi.



L'uso dei farmaci in off-label risulta molto più frequente nelle strutture Ospedaliere Universitarie nelle quali la ricerca risulta d'obbligo.

Per questo motivo sono state prese in esame tutte le terapie praticate c/o l'A.O.U. Policlinico di Messina nell'anno 2016, per avere una immagine precisa della vastità della problematica.



Durante l'anno 2016 sono state praticate terapie off-label in 66 pazienti.

Nella stragrande maggioranza si trattava di uso di farmaci fuori indicazione ma in un paio di casi anche uso di farmaci con l'indicazione ma off-label riguardo il dosaggio autorizzato.



Sindrome di Sjogren

2 casi

Trattamento :

Rituximab (Mabthera)

1 somministrazione da 1.000 mg

ogni 15 giorni da ripetere ogni 6 mesi



Men da incompatibilità Rh
bb di 1gg
Trattamento:
Immunoglobuline e.v.
1,5g/die per 2 giorni



Glomeruloschlerosi Focal Segmental

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

45g/mese



Spondilite Anchilosante

2 casi

Trattamento:

Anakinra (Kineret)

1f/die



Malattia di Cronn associata a
Spondiloartrite

Trattamento:

Thalidomide 150 mg/die

n. cicli non prevedibile



Panuveite Bilaterale

Trattamento:

Adalimumab (Humira)

24 mg/mq s.c. ogni 2 settimane

per 24 cicli

(bimbo di circa un anno)



Fistola Liquorale meningoencefalocele
sfenoidale e etmoidale

Trattamento:

Fluoresceina sodica

25 mg intratecale



Glomerulonefrite
membranoproliferativa

Trattamento:

Eculizumab (Soliris)

1 f ogni 15 gg

7 cicli



Glomerulonefrite membranosa

2 casi

Trattamento:

Rituximab (Mabthera)

1.000 mg da ripetere dopo due settimane



Uveite Bilaterale (malattia di Behc,et)

3 casi

Trattamento:

Golimumab (Simponi)

50 mg



Miastenia Gravis

10 casi

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

0,4g/Kg per 5 gg

(nella maggior parte dei casi)



Rettocolite Ulcerosa

3 casi

Trattamento:

Infliximab (Remicade)

10 mg/kg ogni 7 settimane



Rettocolite Ulcerosa

Ttrattamento:

Thalidomide

100 mg/die (n. cicli imprevedibile)



Rettocolite Ulcerosa

2 casi

Trattamento:

metronidazolo

250 mg 3volte/die per una settimana



Glomerulonefrite Lupica

3 casi

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

40g/mese



Idiopathic Systemic Capillary Leak Syndrome

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

1-2 g/Kg /mese



Uveite Ricorrente

Trattamento:

Adalimumab (Humira)

24 mg/mq/2 settimane per 24 cicli



Vasculite autoimmune in paziente con
Sindrome di Down

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

40 g/mese



Encefalopatia Acuta

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

1 g/Kg per 2 gg e per 2 cicli



Sindrome Nefrosica Corticoresistente
Secondaria a Glomerulosclerosi
Focale e Segmentaria

Trattamento:

Ofatumumab (Arzerra)

1.500 mg / 1,73 mq

singola somministrazione



Shock Settico
da Peritonite Stercoracea
2 casi
Tigeciclina (Tygacil)
100 mg /12 h



Sindrome Nefrosica

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

35g /ogni 2 mesi per 6 cicli



Sindrome Nefrosica

2 casi

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

40 g/mese per 12 cicli



Dermatomiosite

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

30 g/die per 5 gg



Dermatomiosite

Trattamento:

Metotrexato

10 mg/1,33 ml per 5 cicli



Sindrome Miastenica Congenita

Trattamento:

Amifapridina (Firdapse)

4 mg/die ciclo di sei mesi



Lupus Eritematoso Sistemico

2 casi

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

10g/die per 3gg consecutivi al mese
per 3 mesi



Artrite Reumatoide

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

30 g per somministrazione
per 12 cicli



Encefalite Limbica

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

1 g/Kg per 2 cicli



Rettocolite Ulcerosa associata a
recidiva su trapianto epatico
effettivato per Sindrome da
Overzap (colangite/epatite
autoimmune)

Trattamento:

Adalimumab (Humira)

80 mg e dopo 2 settimane
mantenimento con 40 mg



Epilessia parziale farmaco resistente

Trattamento:

Perampanel (Fycompa)

1/2 cpr x 2/die per 6 cicli mensili



Rohhad Syndrome Sepsis

Trattamento:

Immunoglobuline e.v. 50 mg/ml

350 ml/die per 3 giorni



Sindrome da Iper IgD

2 casi

Trattamento:

Canakinumab (Ilaris)

150 mg ogni mese



Encefalite Disimmune
bb di 19 mesi
Trattamento:
Immunoglobuline e.v.
5g/die per 5 giorni



Atassia Cerebrale con positività
per anticorpi Anti GAD

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

0,4g/Kg per 5 giorni



Ictus Emorragico

Infezione Polidistrettuale da germi
multiresistenti

Trattamento:

Tigeciclina (Tygacil)

100 mg/2 volte al die per 15 giorni



Artrite di Takayasu

Trattamento:

Tocilizumab (Roactembra)

8 mg/Kg per settimana per 12 cicli



Trapianto Renale

bb di 5 anni terapia conservativa

Trattamento:

Immunoglobuline e.v.

2g per 3 cicli



Neuropatia Motoria Multifocale
Trattamento:
Immunoglobuline sottocute
(Hizentra)



Glomerulopatia a lesioni minime

Trattamento:

Rituximab (Mabthera)

1.000 mg



Rinorrea del liquido cefalo-spinale

Trattamento:

Fluoresceina sodica

25 mg intratecale



Glomerulonefrite
membranoproliferativa

Trattamento:

Eculizumab (Soliris)

1 f. ogni 15 giorni per 7 cicli



Encefalopatia Epilettica ad Esordio
precoce

Trattamento:

Perampanel (Fycompa)

2 mg/die per due mesi

bb di 5 anni



Vista la vastità delle patologie e anche delle terapie, riveste fondamentale importanza una attenta valutazione non solo della bibliografia prima di dare l'autorizzazione per l'uso, ma anche un attento e puntuale monitoraggio dei risultati ottenuti



Grazie per l'attenzione