

Bambini con fibrosi cistica: l'ormone della crescita non migliora nel breve termine la funzione polmonare

Effetti positivi della terapia a base di ormone della crescita sulla crescita, stato nutrizionale e funzione polmonare sono stati osservati nei pazienti con fibrosi cistica, ma le conoscenze attuali sono basate su studi non in cieco, che hanno coinvolto un basso numero di pazienti.

Ricercatori tedeschi hanno valutato l'efficacia e la sicurezza di 2 dosaggi di ormone della crescita nella fibrosi cistica.

Pazienti distrofici con fibrosi cistica (n = 63) sono stati assegnati in maniera random per 24 settimane ad 1 di 3 bracci di trattamento: ormone della crescita ad un dosaggio di 0,11 UI/kg di peso corporeo al giorno, ormone della crescita ad un dosaggio di 0,21 UI/kg di peso corporeo al giorno, oppure placebo.

Il trattamento di 24 settimane in doppio cieco è stato seguito da un periodo di trattamento in aperto di 24 settimane.

L'endpoint principale era rappresentato dal cambiamento nel volume espiratorio forzato in 1 secondo (FEV1) dal basale.

Gli endpoint secondari erano i cambiamenti in altezza, peso corporeo e la tolleranza all'esercizio.

L'altezza, la velocità di crescita ed i fattori di crescita (IGF-1: insulin-like growth factor 1 e IGF BP3: insulin-like growth factor-binding protein 3) sono aumentati significativamente in entrambi i gruppi di trattamento, mentre l'incremento di peso non è risultato diverso tra i gruppi trattati con ormone di crescita ed il gruppo trattato con il placebo.

Una tendenza al miglioramento della capacità vitale forzata (CVF) è stata osservata nei pazienti che avevano ricevuto il dosaggio più alto di ormone della crescita, mentre il volume respiratorio forzato in un secondo non è cambiato significativamente nei pazienti trattati.

Non sono state riscontrate significative differenze nella frequenza o nella gravità degli effetti avversi o nell'incidenza di anomalie nel metabolismo del glucosio.

Questi dati suggeriscono che nei gruppi osservati, la terapia a base di ormone della crescita è risultata ben tollerata ed ha prodotto effetti metabolici positivi, ma non un miglioramento a breve termine della funzione polmonare in pazienti con fibrosi cistica. (Fonte Xagena)

Schnabel D et al, Pediatrics 2007; 119: e1230-1238

Ettore Napoleone

**Responsabile Nazionale FIMP Ricerca e Sperimentazione sui Farmaci
Membro Gruppo Multidisciplinare AIFA “ Farmaci e Bambini**