

LO SCIOPERO DELLE MEDICINE PER I BAMBINI

(Editoriale Medico e Bambino ottobre 2007)

I farmaci per un uso nei bambini sono stati oggetto di particolare attenzione durante l'anno 2007. Da un lato la legge finanziaria ha riproposto, con una normativa regolatoria, il rimborso solo di quei farmaci di provata efficacia in età pediatrica; dall'altro il parlamento europeo ha scritto un documento importante che sottolinea l'assoluta necessità di fare fronte (una volta per tutte, si potrebbe dire) al "problema" della mancanza, per i bambini, di sperimentazioni cliniche e/o di adeguate formulazioni; ma anche l'opportunità di un formale riconoscimento per i farmaci che hanno una adeguata sperimentazione ma non ancora l'autorizzazione per l'uso pediatrico.

Due aspetti (la finanziaria e il tentativo di regolamentazione europea) che sono in parte in antitesi: si chiede di rimborsare farmaci di provata efficacia, ma vi è la difficoltà a riconoscerne formalmente "l'efficacia" (a volte indiscutibile) per motivi diversi, anche di tipo regolatorio. Allora chi deciderà e cosa si intravede come soluzione al problema? Di fatto i farmaci hanno i loro padroni che sono le multinazionali farmaceutiche.

Queste possono decidere o meno di fare sperimentazione su alcuni farmaci rispetto ad altri; possono decidere, a loro discrezione, se richiedere l'autorizzazione per un uso pediatrico all'EMA (l'organismo centrale europeo) per farmaci che hanno già una sufficiente dimostrazione di efficacia per specifiche condizioni cliniche. Avevamo scritto che tutto questo percorso poteva avvenire a partire dalle priorità individuate anche dai medici (specchio di quelle dei pazienti). Ci rendiamo conto che tutto questo ha delle difficoltà che si scontrano con interessi rivolti sempre di più a sperimentare ed approvare farmaci nuovi, spesso biologici, spesso enormemente costosi. Con un indubbio progresso ottenuto, nell'ultimo decennio, per la cura di alcune patologie gravi su indicatori forti di salute, ma con il rischio di "dimenticanze" che mantengono aperti tanti dubbi che riguardano alcuni problemi clinici orfani o al contrario molto comuni nella pratica ambulatoriale. L'esempio dei decongestionanti nasali e dei farmaci antivomito (domperidone, metoclopramide) per uso pediatrico, affrontati con rigore da parte del Gruppo di Lavoro per i Farmaci Pediatrici dell'AIFA, ci dice che i margini di indeterminatezza sul profilo di beneficio/rischio di alcuni trattamenti sono alcune volte così "visibili" da chiedersi come e con quali obiettivi terapeutici trattiamo quotidianamente i nostri bambini, in particolare se molto piccoli. Queste classi di farmaci, largamente utilizzate e presenti sul mercato da decenni, non hanno alle spalle sperimentazioni cliniche degne di questo nome (il che non esclude la loro efficacia in specifiche condizioni cliniche, ma non ne dimostra la loro sicura efficacia) e sono gravate, anche se raramente, di severi effetti collaterali. In tale contesto di indeterminatezza e di auspicabile lavoro ancora da fare, con ruoli e protagonisti attivi a diversi livelli (istituzionale, di sanità pubblica, di impegno professionale di aggiornamento e di ricerca), se alcuni farmaci potessero parlare ci direbbero: "è un momento delicato che richiede una serie di azioni ragionevoli che chiariscano il nostro ruolo e le nostre 'indicazioni'...; in attesa di alcune risposte, pensiamo, per una volta, di pensare a uno sciopero per la salute dei nostri bambini". La risposta a questo sciopero "provocatorio", per le ragioni dette, non è facile ma potrebbe trovare, come prima soluzione, una presa di posizione forte e unitaria da parte delle Società e organismi culturali e scientifici (tutti rappresentati nel gruppo sui farmaci pediatrici dell'AIFA) sulle problematiche riportate, a partire da una agenda pragmatica di lavoro (razionalità prescrittiva, ricerca indipendente, richiesta alle industrie di presentare istanze di approvazione dei farmaci per un uso pediatrico), possibilmente operativa anche in una prospettiva europea di cambiamento.

Federico Marchetti

Bibliografia

1. Marchetti F, Bua J, Demarini S, et al. Le priorità associate all'uso dei farmaci "off-label". Medico e Bambino 2005; 24:527-31.
2. Gruppo di lavoro sui farmaci pediatrici (AIFA). Decongestionanti nasali: nei bambini i rischi superano i benefici. Medico e Bambino 2007; 26:309-15.
3. Segnalazioni di reazioni avverse a PERIDON supposte nei bambini. Raccomandazioni del gruppo di esperti AIFA sui farmaci pediatrici. <http://www.agenziafarmaco.it>. Sezione Registrazione e Farmacovigilanza. Nota dell'11 settembre 2007.

Ettore Napoleone

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