

Gruppo di Studio PeNPAD

NUOVI FARMACI E PROTEZIONE DEL SISTEMA NERVOSO CENTRALE NEL BAMBINO: PROSPETTIVE DI RICERCA CLINICA

Background scientifico

L'azione di parte dei farmaci analgesici e sedativi in uso in Sala Operatoria e in Terapia Intensiva Pediatrica, le modificazioni funzionali d'organo indotte da eventi traumatici improvvisi, da insufficienza acuta o da malattie degenerative progressive, possono produrre reazioni sulla bio-regolazione cellulare e organica con conseguenze protratte nel tempo.

Tali farmaci inoltre possono portare a effetti avversi negativi i cui meccanismi non sono ad oggi completamente noti, quali ad esempio la sindrome d'astinenza o il delirium.

Il problema ha spinto i ricercatori a formulare nuove proposte farmacologiche mirate a un effetto protettivo e se possibile profilattico del danno cellulare e del danno d'organo.

La gran parte di queste sostanze studiate in ambito preclinico si è solo da poco affacciata allo scenario della ricerca Clinica e dunque la disponibilità di prove di sicurezza ed efficacia per questi nuovi farmaci è limitata.

Se questo pone problemi per il paziente adulto, ancor più per l'età pediatrica. Differenze fisiologiche e cambiamenti legati allo sviluppo producono differenze farmacocinetiche e farmacodinamiche. A questo si aggiunge la difficoltà di proporre trial clinici pediatrici sui farmaci. Promuovere una buona ricerca clinica che garantisca e tuteli il bambino rappresenta quindi uno sforzo che ha portato negli ultimi anni ad iniziative regolatorie anche in Europa, come l'introduzione del Regolamento Europeo sui farmaci pediatrici e la costituzione del Comitato Pediatrico. Per garantire anche al piccolo paziente nuove opportunità terapeutiche e ulteriori opzioni da utilizzare è sicuramente necessario sostenere e contribuire a questa sfida scientifica.

A questo tema si aggiunge l'importanza della diffusione e formazione relativa all'analgesedazione del bambino critico, allo scopo di creare una "rete" di specialisti che promuovano la cultura in questo ambito.

Obiettivo del Gruppo di Studio

Obiettivo primario del Gruppo di Studio è promuovere la ricerca clinica per implementare le evidenze sull'utilizzo, l'efficacia e il grado di sicurezza di nuovi farmaci utilizzati in gran parte secondo la modalità off label e supportare la loro approvazione d'uso in campo pediatrico.

Obiettivo secondario è la diffusione delle evidenze scientifiche e degli standard in tema di analgesedazione nel bambino critico.

Attività triennio 2014-2016

1. Inserimento del medicinale Dexmedetomidina nell'elenco AIFA istituito ai sensi della Legge n. 648/96 (GU 7/1/2016)

a) per analgesedazione procedurale fuori dalla Sala Operatoria (Non Operating Room Anesthesia NORA) nel bambino con gestione difficile della via aerea e nel bambino con disturbi convulsivi che deve essere sottoposto a studi diagnostici per localizzare i foci epilettogeni

b) analgesedazione del neonato e del bambino critico ricoverati in terapia intensiva, ventilati meccanicamente e scarsamente rispondenti al trattamento analgesedativo convenzionale.

2. Studio retrospettivo multicentrico sull'utilizzo della dexmedetomidina pre-autorizzazione 648

3. Raccolta dati post autorizzazione 648 (monitoraggio richiesto da AIFA)

Programma triennio 2017-2020

1. Progetto AS-TIP: *piano di formazione sulla gestione della terapia analgo-sedativa (AS) nel paziente pediatrico che si trovi ricoverato in una Unità di Terapia Intensiva (UTI) sia essa o meno dedicata al bambino, allo scopo di migliorare le competenze degli operatori.*

Sono previste due tipologie formative diverse e tra loro integrate:

- 3 eventi a cadenza annuale da attuarsi possibilmente in sedi congressuali (il primo evento si è svolto dal 21 al 22 Giugno 2017 a Perugia nell'ambito del 21° Congresso SARNePI)
- 8 eventi/anno (nominati UPDATE).da attuarsi nelle diverse UTI partecipanti.

2. Annuale revisione della letteratura sull'argomento.

3. Update sulla regolamentazione europea sui farmaci pediatrici.

4. Programmazione di nuovi studi osservazionali e/o di studi clinici individuando le priorità per ulteriori indagini attraverso la letteratura.