

QUEL CHE RESTA E QUELLO CHE SI SPERA PER L'AIFA

A molti pediatri che hanno letto dagli organi di stampa dello stato attuale delle cose relativo alle vicende della nostra Agenzia Nazionale del Farmaco (AIFA) interesserebbero forse poco queste semplici riflessioni che hanno un obiettivo ragionevolmente propositivo. Eppure la fase di stallo decisionale, organizzativa e soprattutto programmatica dell'AIFA ci riguarda molto e per diversi motivi.

Un anno fa Maurizio Bonati, sulle pagine di *Quotidiano Sanità*, in un suo contributo molto significativo, dal titolo "Anche i bambini guardano all'AIFA"¹ evidenziava quelli che sono i ruoli dell'Agenzia che non sono di poco conto. L'AIFA, al pari di tutte le Agenzie regolatorie nazionali e in stretta connessione con l'Ente centrale che è l'Agenzia Europea del Farmaco (EMA), ha il mandato di regolare l'uso dei farmaci, monitorandone l'intero ciclo di vita per garantirne la sicurezza, l'appropriatezza, la sostenibilità economica e l'accesso su tutto il territorio nazionale, basandosi su alcuni principi a cui dovrebbe attenersi: efficacia ed efficienza, trasparenza e comunicazione, appartenenza e responsabilità, riservatezza¹.

Cosa ha a che fare questa "missione" con la salute dei bambini e con i progressi in termini di disponibilità di farmaci, principi di sicurezza ed efficacia? Nella mia vita professionale ho avuto l'occasione e l'onore di essere stato uno dei componenti del Gruppo Pediatrico nominato dalla stessa AIFA. Stiamo parlando del primo decennio del 2000. In quegli anni la commissione, che ha avuto due mandati, si riuniva periodicamente e discuteva di temi rilevanti che avevano come interfaccia i sistemi regolatori, la farmacovigilanza (molto attiva anche in ambito pediatrico) e il noto problema dei farmaci fuori autorizzazione per un uso pediatrico (i famosi farmaci *off-label*). I principi ispiratori di quella commissione (che di fatto rappresentava l'AIFA per la parte pediatrica) partivano da alcuni bisogni semplici ma essenziali.

Il primo era quello di aumentare la disponibilità di farmaci sicuri ed efficaci per i bambini che rappresentava e rappresenta una priorità di tutte le agenzie regolatorie. Prima della fine degli anni '90, pochissimi farmaci erano specificamente approvati per l'uso pediatrico, sia per le preoccupazioni etiche sull'inclusione dei bambini negli studi clinici che per lo scarso interesse dei produttori dei farmaci. Il gruppo pediatrico fece la revisione di alcune classi terapeutiche, aggiornando i principi attivi inseriti nella lista prevista dalla Legge 648/96 consentendo l'accesso, anche gratuito, all'uso di farmaci di priorità importante per i bambini che sino ad allora non era regolamentato, tra cui anche i cardiovascolari². Alcuni documenti furono importanti per migliorare l'appropriatezza di impiego di farmaci di ampio utilizzo quali i decongestionanti nasali³, gli antiemetici⁴, i FANS⁵, i mucolitici⁶. Una *position paper* sulla farmacovigilanza pose le basi per un uso accorto dei farmaci rispetto al loro profilo di sicurezza e ai possibili rischi⁷. Furono autorizzati alcuni anestetici per un uso pediatrico⁸.

Successivamente al non rinnovo della Commissione pediatrica (con motivazioni che di fatto non furono date) ci furono alcune richieste (che furono in qualche modo spinte da

organismi non propriamente istituzionali) di lavorare sui farmaci *off-label* non autorizzati nell'ambito delle cure palliative pediatriche⁹, di cui sentiamo oggi tanto parlare.

È importante ricordare che prima ancora, nel 2003, fu pubblicato dal Ministero della Salute la "Guida all'uso dei farmaci per i bambini" realizzata in 600.000 copie, distribuite gratuitamente e in modo capillare a medici, pediatri, farmacisti e infermieri¹⁰. Iniziativa rimasta pressoché unica, a differenza di quello che viene fatto in Inghilterra con la pubblicazione periodica del *British National Formulary* (BNF) che rimane una guida insostituibile nel mio lavoro professionale¹¹. Sempre in questi ultimi anni l'Agenzia regolatoria sui farmaci americana (FDA) ha raggiunto l'obiettivo di un apposito programma lanciato alcuni anni fa, di valutare le evidenze disponibili di 1.000 farmaci con l'indicazione pediatrica¹.

La mancanza di un organismo composto da pediatri che fornisca in modo indipendente e partecipe le linee di indirizzo in termini di bisogni da affrontare e le direttive (anche per i bandi di ricerca indipendenti che devono riguardare il settore pediatrico) ci ha fatto perdere negli ultimi 10 anni diverse occasioni per riproporre al centro della valutazione e della ricerca farmacologica i bisogni terapeutici di neonati, bambini e adolescenti. L'ultima nota che ricordo, relativa all'uso di farmaci correnti, è quella sul salbutamolo, con il sostanziale divieto di utilizzo < 2 anni di età che ha determinato, da parte della Pediatria italiana, molte proteste e un richiamo a rivederne i contenuti (cosa che non è stata fatta). Per non parlare del problema preoccupante, e che sembra essere senza soluzione, degli psicofarmaci per l'età pediatrica, che risultano essere spesso *off-label* (e senza adeguate formulazioni). Allo stesso modo i grandi progressi nelle conoscenze farmacologiche di risposta ad alcune patologie rare e croniche (non ultimo l'ambito oncoematologico) richiederebbero una visione costante e partecipe per favorire la disponibilità dei farmaci, il loro monitoraggio, garantendone la sostenibilità economica.

Per ultimo va doverosamente citata anche una recente vicenda che vede l'assenza, e da mesi, di una decisione semplice da parte di AIFA relativa alla pubblicazione di 10 schede sulle principali infezioni (pediatriche e degli adulti) riprese dal manuale OMS sugli antibiotici e che sono state riviste e adattate al contesto nazionale. Questo a proposito dell'uso razionale degli antibiotici e del tanto discusso problema dell'aumento delle resistenze di cui siamo tra i primi in negativo in Europa. Ne sentiamo tanto parlare, ma senza azioni concrete migliorative. Le motivazioni della mancata pubblicazione delle schede sugli antibiotici rimangono misteriose e sottolineano l'importanza di arrivare a una definizione non solo di organismi dell'Agenzia che siano indipendenti e funzionalmente efficienti, ma anche e soprattutto a programmi che siano in linea con il recente documento della commissione europea di cui abbiamo parlato su *Medico e Bambino* (farmaci essenziali disponibili, valutazione delle terapie innovative, loro disponibilità, regole del mercato ecc.)¹².

Il processo di spinta alla regionalizzazione anche della Sanità è preoccupante in assenza di un Ente nazionale che segua principi di equità e di universalità nella dispo-

nibilità dei farmaci. La vicenda che riguarda ad esempio il nirsevimab, l'anticorpo monoclonale per la prevenzione dell'infezione da virus respiratorio sinciziale, sta seguendo in questi mesi strade che vedranno forse la disponibilità del farmaco in alcune regioni, mentre altre prenderanno decisioni diverse (e per motivazioni non sempre oggettivamente). Senza la possibilità di una discussione ragionata e ragionevole della Comunità scientifica e senza la possibilità di progettare studi di fase IV (quelli sul campo) che sono in prospettiva e per tanti ambiti farmacologici di assoluto rilievo¹³.

Il nostro auspicio è che l'AIFA ponga doverosamente al centro delle sue priorità l'area pediatrica, seguendo alcuni modelli virtuosi degli anni scorsi. E lo faccia, come da mandato, in modo indipendente, con un alto profilo di competenze, rilanciando la stessa ricerca rivolta alla popolazione dei neonati, bambini e adolescenti. Una ricerca che persegua anche obiettivi semplici, ma rilevanti per la qualità assistenziale. E allo stesso modo definendo le priorità di salute e la disponibilità di farmaci essenziali e di adeguate formulazioni di cui i bambini sono assolutamente carenti.

Da parte nostra dobbiamo lavorare per favorire insieme questo processo. Contano i bisogni assistenziali, anche farmacologici, non quelli di logiche di potere o di interessi. Tocca anche a noi darne un chiaro e virtuoso esempio.

Bibliografia

1. Bonati M. Anche i bambini guardano all'AIFA. *Quotidiano Sanità* 26 gennaio 2023.
2. Working Group Pediatrico dell'AIFA. La prima lista dei farmaci cardiovascolari autorizzati per un uso pediatrico. *Medico e Bambino* 2010;29(3):172-6.
3. Gruppo di Lavoro sui Farmaci pediatrici (AIFA). Decongestionanti nasali: nei bambini i rischi superano i benefici. *Medico e Bambino* 2007;26(5):309-15.
4. Marchetti F, Santuccio C, Gruppo di Lavoro sui Farmaci Pediatrici dell'AIFA. Il trattamento del vomito in Pediatria. *Bollettino di Informazione sui Farmaci* 2007;XIV(5):2-15.
5. Working Group Pediatrico dell'AIFA. Cautela sull'uso dei FANS nei bambini. *Medico e Bambino* 2010;29(10):654-6.
6. Tartaglia L, Trotta F, componenti del Working Group Pediatrico dell'AIFA. Sicurezza ed efficacia dei mucolitici in età pediatrica. *Medico e Bambino* 2011;30(2):110-3.
7. Napoleone E, Santuccio C, Marchetti F, a nome del Gruppo di Lavoro sui Farmaci Pediatrici dell'AIFA. La farmacovigilanza: potenzialità e prospettive anche in pediatria. *Medico e Bambino* 2008;27(4):214-5.
8. Salvo IR, Cabrini L, Marta Mucchetti M, Landoni G. A misura di...bambino: l'importanza della disponibilità di farmaci specifici per l'età pediatrica. 20 Maggio 2014 <https://www.aifa.gov.it/en/-/a-misura-di-bambino-l-importanza-della-disponibilita-di-farmaci-specifici-per-l-eta-pediatria>
9. De Zen L, Marchetti F, Barbi E, Benini F. Off-label drugs use in pediatric palliative care. *Ital J Pediatr* 2018;44(1):144. doi: 10.1186/s13052-018-0584-8.
10. Ministero della Salute. Guida all'uso dei farmaci per i bambini. Istituto Poligrafico e Zecca Stato (Ed), Roma 2003.
11. Paediatric Formulary Committee. British National Formulary for Children (BNFC) 2023-2024 ed <https://www.nice.org.uk/bnfc-uk-only>.

12. Marchetti F, Addis A. La riforma europea della legislazione farmaceutica. *Medico e Bambino* 2023;26(7):e113-e118. doi: 10.53126/MEBXXVIS113.

13. Società Italiana di neonatologia. Lettera aperta al Ministro della Salute, alla Ministra per la Famiglia, la Natalità e le Pari Opportunità, ai Presidenti delle Regioni Italiane e agli Assessori regionali alla Sanità e alla Salute. 26 febbraio 2024. <http://tinyurl.com/4b378w5y>.

Federico Marchetti

UOC di Pediatria e Neonatologia, Ospedale di Ravenna, AUSL della Romagna

ATLANTE DERMATOLOGICO PEDIATRICO: 10 ANNI... E NON LI DIMOSTRA

Molte delle richieste che giungono ai pediatri riguardano problemi maggiori e soprattutto minori di Dermatologia pediatrica.

La Dermatologia pediatrica è una sfida, ma anche un terreno di apprendimento continuo per il pediatra: spesso non sono necessarie consulenze dermatologiche (con lunghe liste d'attesa, e va detto che il dermatologo dell'adulto ha meno familiarità con la pelle del bambino) né altri accertamenti, se non talvolta l'utilizzo del dermatoscopio o della luce di Wood o di un Atlante dermatologico. L'anamnesi, la sede, la morfologia della lesione orientano verso una diagnosi. Anche in Dermatologia pediatrica è vero il motto che "se la conosci, la riconosci".

Fin dai primi numeri di *Medico e Bambino* si è dato ampio spazio ai problemi della pelle del bambino. Ci sono articoli memorabili di Irene Berti e di Mario Cutrone in proposito, con una ricca e preziosa iconografia. L'interesse per la Dermatologia pediatrica veniva confermata dalle molte richieste agli esperti, tanto che successivamente è nata la rubrica Dermo mail a cura di Irene Berti. Dieci anni fa abbiamo avuto l'idea di sistematizzare tutto il ricco materiale dermatologico presente nella rivista cercando una modalità di facile consultazione. Nel supplemento 2013 della rivista è apparso l'Atlante dermatologico pediatrico alfabetico di *Medico e Bambino*, che subito dopo è stato fruibile online. Si è arricchito nel tempo, prima nel 2018 e poi nel 2021 con un totale di 320 differenti capitoli dermatologici presentati in ordine alfabetico; ora una quarta edizione, che ne aggiunge ulteriori 74. L'aggiornamento arriva a febbraio 2024 ed è disponibile per gli abbonati al seguente indirizzo: https://www.medicoebambino.com/index.php?id=DE1811_10.html. Lo strumento appare valido e attuale e l'interesse dei pediatri è confermato dall'elevato numero di accessi online all'Atlante, anche nell'ultimo anno.

In conclusione, ricordiamoci che la Dermatologia è Pediatria e i pediatri possono occuparsi di Dermatologia. Siamo convinti che l'Atlante dermatologico alfabetico di *Medico e Bambino* sia un aiuto per i pediatri e uno degli strumenti possibili perché possano acquisire maggiori competenze in questo campo.

Fabrizio Fusco, Daniela Sambugaro

Pediatra di famiglia, Valdagno (Vicenza)