

Estate 2026

Segreteria scientifica

Francesco Baldo,
Caterina Cocchi,
Prisca Da Lozzo,
Laura De Nardi,
Sara Lega,
Antimo Tessitore
Laura Trapani

Coordinamento scientifico

Egidio Barbi,
Irene Berti,
Giorgio Longo,
Federico Marchetti,
Giorgio Tamburlini,
Alessandro Ventura

Progetto grafico e impaginazione

Alice Paviotti

ISSN 3034-8765

www.medicoebambino.com

zero* diciotto

Il magazine di Medico e Bambino

Buongiorno futuro

- 2 **La cura diventa più mirata**
La rivoluzione delle *small molecules*
in dermatologia pediatrica

Succede ai ragazzi

- 4 **Il ciclo mestruale è un segno vitale**
Cinque messaggi chiave e cinque
domande che ogni pediatra
dovrebbe conoscere

Appunti di pediatria

- 6 **La pianificazione condivisa
delle cure (PCC)**

Screenshot

- 7 **Più veloci,
ma anche più bravi?**
Una immagine per fare
buon uso dell'A.I

Pillole

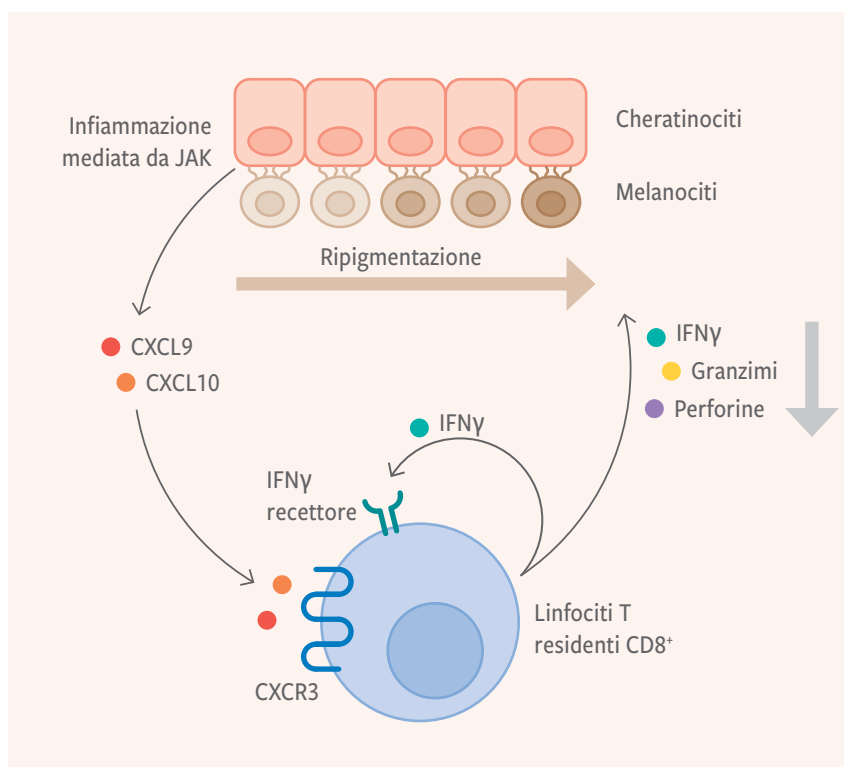
- 8 **Teplizumab**
Una terapia ponte verso la cura definitiva
del Diabete Mellito Tipo 1 (DMT1)

La cura diventa più mirata

La rivoluzione delle *small molecules* in dermatologia pediatrica

L'avvento dei farmaci biologici e delle piccole molecole (*small molecules*) rappresenta una delle innovazioni terapeutiche più rilevanti della medicina moderna. Sebbene non si tratti di una scoperta dell'ultimo minuto, oggi il loro impiego è diventato una pratica medica consolidata in numerose specialità.

I biologici agiscono all'esterno della cellula come grandi anticorpi mirati, hanno un'emivita di settimane e richiedono una somministrazione infusionale (endovenosa o sottocutanea). Al contrario, le piccole molecole hanno una struttura così ridotta da penetrare direttamente all'interno della cellula, modulando i meccanismi patogenetici al suo interno. Questo offre il grande vantaggio di poter essere somministrate per via orale e, soprattutto, topica.



Meccanismo d'azione di Ruxolitinib nella vitiligine.

Modificato da The Lancet. 396:110-120.



Ruxolitinib crema 1.5%
da applicare due volte
al giorno ha dimostrato:

DOPO 6 MESI

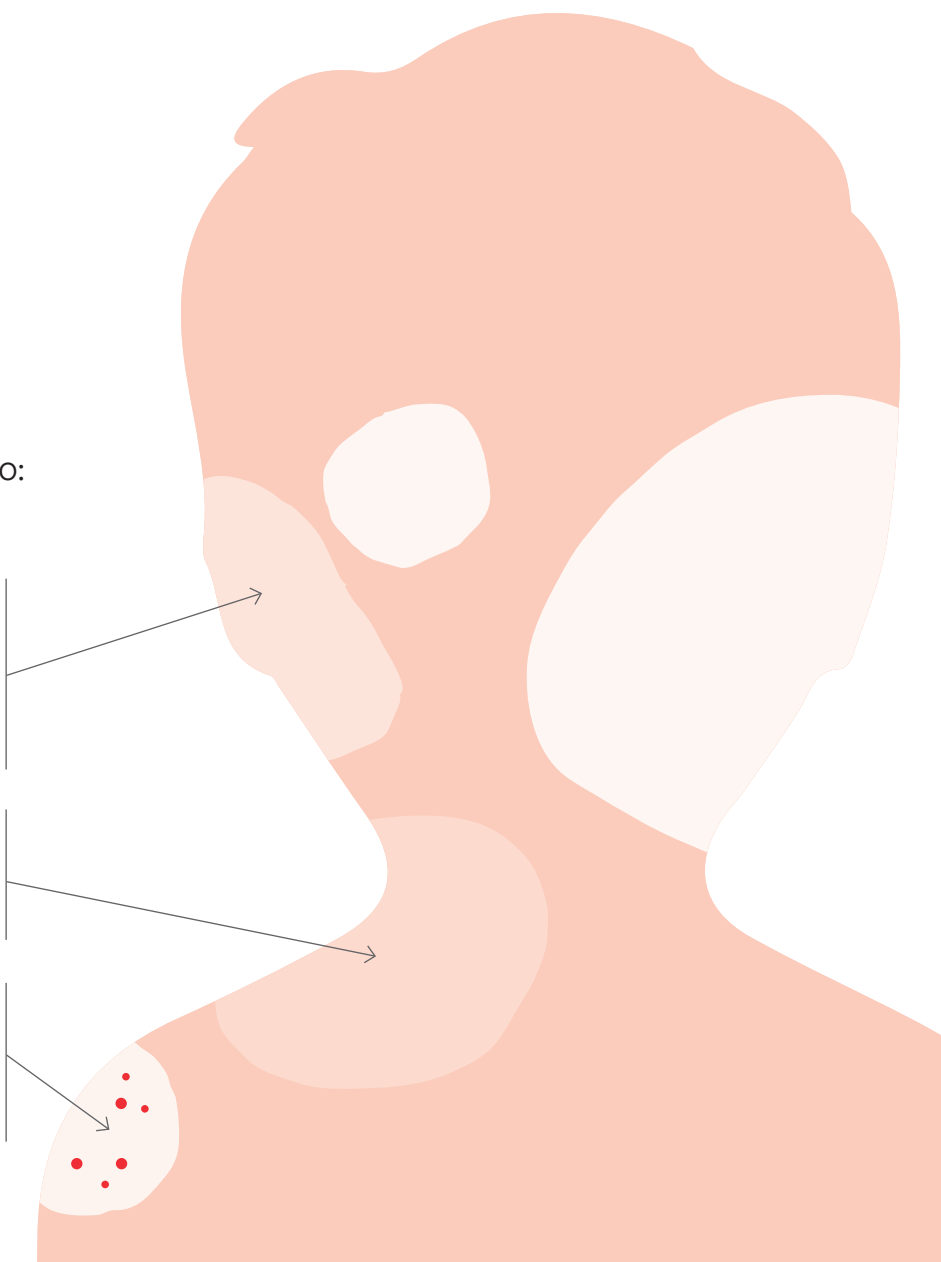
**1 paziente su 3 ha visto sparire
almeno il 75% delle macchie
sul viso**, un risultato 3 o 4 volte
superiore rispetto a chi usava una
crema neutra (placebo).

DOPO 1 ANNO

**la pelle continua a ripigmentarsi
sempre di più**, sia sul viso che sul
resto del corpo.

EFFETTI COLLATERALI:

gli unici piccoli **disturbi** riscontrati
sono stati **per lo più locali**, come un
po' di acne o prurito proprio nel punto
in cui veniva messa la crema.



Fonte dati da N Engl J Med.
2022;387(16):1445-1455.

La vera rivoluzione è l'arrivo di queste tecnologie in dermatologia pediatrica. La novità principale è rappresentata dai JAK-inibitori (Janus Kinases). Il nome richiama il dio romano Gianno per la loro struttura a due domini simmetrici: il loro compito è attivare i fattori STATs, che migrano nel nucleo cellulare per regolare l'espressione dei geni target. L'impatto di questa svolta è straordinario per le patologie dermatologiche ad alta prevalenza o fortemente invalidanti, che comportano un profondo carico psicologico per bambini e adolescenti.

L'esempio più clamoroso è il Ruxolitinib: un'innovazione straordinaria proprio per il fatto di poter essere somministrato "semplicemente" sotto forma di crema topica. Approvato e rimborsato sopra i 12 anni per il trattamento della vitiligine con interessamento del viso, offre un risvolto terapeutico e psicologico enorme per gli adolescenti, grazie alla dimostrata capacità di ripigmentare le aree colpite (Medico e Bambino 7, 2025).

Un'altra svolta riguarda l'alopecia areata grave o persistente dell'adolescente. Per questa condizione, in

cui i trattamenti tradizionali hanno sempre avuto un'efficacia limitata, oggi c'è il Ritlecitinib: un inibitore selettivo di JAK3 ad uso orale (dai 12 anni) in grado di indurre la ricrescita dei capelli fino al 60% dei casi entro un anno (Pediatr Dermatol 2023), con studi già in corso per estenderne l'uso tra i 6 e i 12 anni.

Disporre di molecole mirate, efficaci e somministrabili per vie non invasive significa non solo trattare la malattia, ma trasformare l'aderenza alla cura e la qualità di vita dei ragazzi e delle loro famiglie.

Il ciclo mestruale è un segno vitale

Cinque messaggi chiave e cinque domande che ogni pediatra dovrebbe conoscere

1

La dismenorrea è frequente, sottotrattata e curabile

Il dolore mestruale è spesso considerato "normale" da ragazze, genitori e anche operatori sanitari, con conseguente sottotrattamento: circa tre quarti delle ragazze e delle donne affette da dismenorrea non richiedono aiuto medico oppure non ricevono una terapia efficace. I FANS sono la terapia di prima scelta e sono più efficaci se assunti alla comparsa dei primi sintomi o, nelle forme più severe, iniziati 1-2 giorni prima dell'inizio della mestruazione. Se i FANS non sono efficaci può essere indicata l'aggiunta di una terapia ormonale (contraccettivi orali combinati o sistema intrauterino al levonorgestrel). La mancata risposta a entrambe le strategie deve far sospettare un'endometriosi, presente in circa il 10% dei casi di dismenorrea refrattaria.



71%

delle adolescenti
ha un **ciclo mestruale**
doloroso

2

I disturbi mestruali incidono sulla scuola e sulla vita quotidiana

I disturbi mestruali rappresentano una delle principali cause di assenza scolastica nelle adolescenti. Durante le mestruazioni il 41% delle ragazze riferisce una riduzione della concentrazione e, nelle adolescenti con flussi mestruali abbondanti, l'assenteismo scolastico raggiunge il 36%, mentre il 64% rinuncia ad attività familiari o ricreative.



20%

delle ragazze
perde giorni di scuola
a causa dei dolori mestruali

3

Un flusso mestruale abbondante può essere il primo segno di un disturbo della coagulazione

La menorragia all'esordio del menarca non deve essere considerata fisiologica e richiede sempre la ricerca di una possibile coagulopatia (emocromo, ferritina e screening coagulativo con PT, PTT, fibrinogeno e pannello per la malattia di von Willebrand). Inoltre, il flusso abbondante è una causa importante di carenza di ferro e anemia: circa il 40% delle adolescenti presenta una riduzione delle riserve marziali. Tra le opzioni terapeutiche, il sistema intrauterino al levonorgestrel (LNG-IUS) è il trattamento di prima linea più efficace per ridurre la perdita ematica mestruale, seguito dall'acido tranexamico. La supplementazione marziale è indispensabile.



20%

delle **adolescenti**
con menorragia ha un
disturbo della coagulazione
(più spesso la malattia
di von Willebrand)

4

I disturbi mestruali e quelli della salute mentale sono strettamente correlati

La dismenorrea severa è inoltre associata a un aumento del rischio di autolesionismo e di ideazione suicidaria. Anche i disturbi premestruali aumentano significativamente il rischio di depressione maggiore (OR 4,76) e di disturbo d'ansia generalizzato (OR 3,86). Nella pratica clinica è quindi opportuno ricercare sintomi mestruali nelle adolescenti con disturbi dell'umore e, viceversa, valutare depressione e ansia nelle ragazze con sintomi mestruali severi. Nei casi di sindrome premestruale o disturbo disforico premestruale, il trattamento comprende SSRI, contraccettivi orali contenenti drospirenone, terapia cognitivo-comportamentale e attività fisica regolare.



3x

rischio di dismenorrea severa nelle adolescenti con depressione o disturbo d'ansia

5

Il ciclo mestruale è un "segno vitale": sapere quando approfondire

Meritano un approfondimento cicli distanziati di oltre 90 giorni, sanguinamenti di durata superiore a 7 giorni, necessità di cambiare assorbente ogni 1-2 ore, assenza di menarca entro i 15 anni (o entro i 13 anni in assenza di sviluppo mammario) e cicli che non si regolarizzano entro 3 anni dal menarca. Le anomalie del ciclo mestruale possono rappresentare il primo segno di endocrinopatie (ad esempio disfunzioni tiroidee e PCOS), coagulopatie o malattie sistemiche croniche (IBD, celiachia), oppure essere la conseguenza di un disturbo della nutrizione e dell'alimentazione.



60-80%

delle adolescenti raggiunge **cicli regolari entro 3 anni dal menarca**

?

Le 5 domande che ogni pediatra dovrebbe fare a ogni adolescente

1

Quando hai avuto l'ultima mestruazione?

2

Ogni quanti giorni arriva il ciclo? È regolare?

3

Quanto dura il flusso? È abbondante?

4

Hai dolore? Ti costringe a saltare scuola, sport o altre attività?

5

Nei giorni prima del ciclo noti importanti cambiamenti dell'umore?

La pianificazione condivisa delle cure (PCC)

Che cos'è?

La PCC è un percorso comunicativo e un diritto garantito dall'articolo 5 della Legge 219/2017.

A chi proporla?

Minori affetti da malattia cronica inguaribile ad alta complessità assistenziale con rischio di morte precoce.

Quando?

La pianificazione può iniziare fin dalle prime fasi della diagnosi ed è un processo vivo, modificabile in qualsiasi momento se la salute del bambino cambia o se evolvono le sue necessità.

L'obiettivo?

Decidere insieme, famiglia e professionisti sanitari, ciò che è scientificamente migliore, corretto, appropriato, eticamente proporzionato e rispetto-

so per quel bambino, evitando di dover prendere decisioni in situazioni di emergenza o di fine vita.

Come?

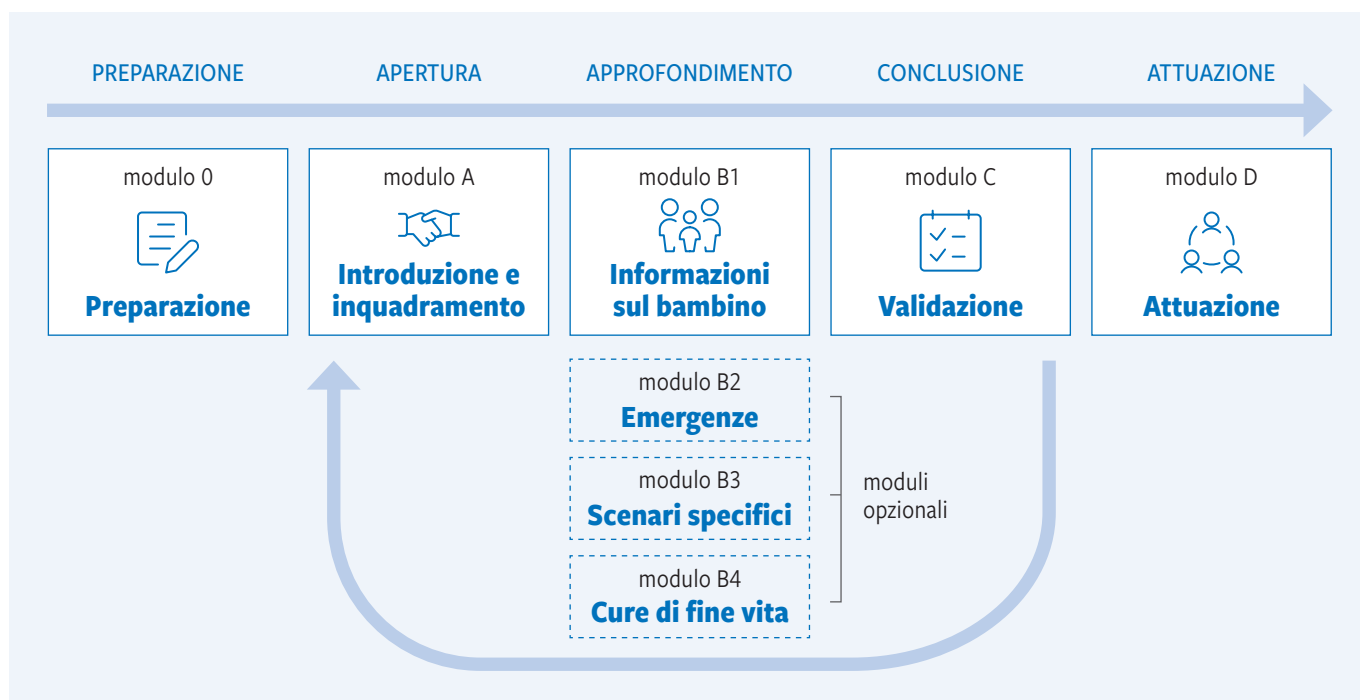
Tutto inizia con un confronto all'interno dell'équipe medica, che analizza la storia clinica e le possibili evoluzioni della malattia, tenendo conto dei bisogni clinici, psicologici, sociali e spirituali della famiglia. Successivamente viene coinvolta la famiglia, si ripercorre il quadro clinico affrontando l'incertezza prognostica per definire una pianificazione differenziata (parallel planning), escludendo a priori interventi non appropriati. Si valutano insieme i diversi scenari e le opzioni terapeutiche, coinvolgendo, laddove possibile, anche il minore, mettendo sempre al centro la sua qualità di vita, il suo benessere e i suoi desideri.

Quali strumenti?

Esistono strumenti dedicati a facilitare il dialogo, tra questi c'è il "Pediatric GoWish together", un gioco di carte che aiuta a parlare di ciò che conta davvero. Per i più giovani ci sono anche risorse come "My Wishes" e "Voicing My Choices", veri e propri spazi d'ascolto scritti per dare voce a bambini e ragazzi, aiutandoli a raccontare le paure, le cose che amano e come desiderano essere curati e accompagnati.

Cosa dice la Letteratura?

Le evidenze dimostrano che la PCC rende i genitori più preparati ad affrontare il fine vita, beneficiando di una migliore qualità della vita e di una più serena elaborazione del lutto (RICP, 2026).



Schema proposto per la Pianificazione Condivisa delle Cure. Fonte dati da J Pain Symptom Manage. 2022;63(2):189-198.

Più veloci, ma anche più bravi?

Una immagine per fare buon uso dell'A.I.

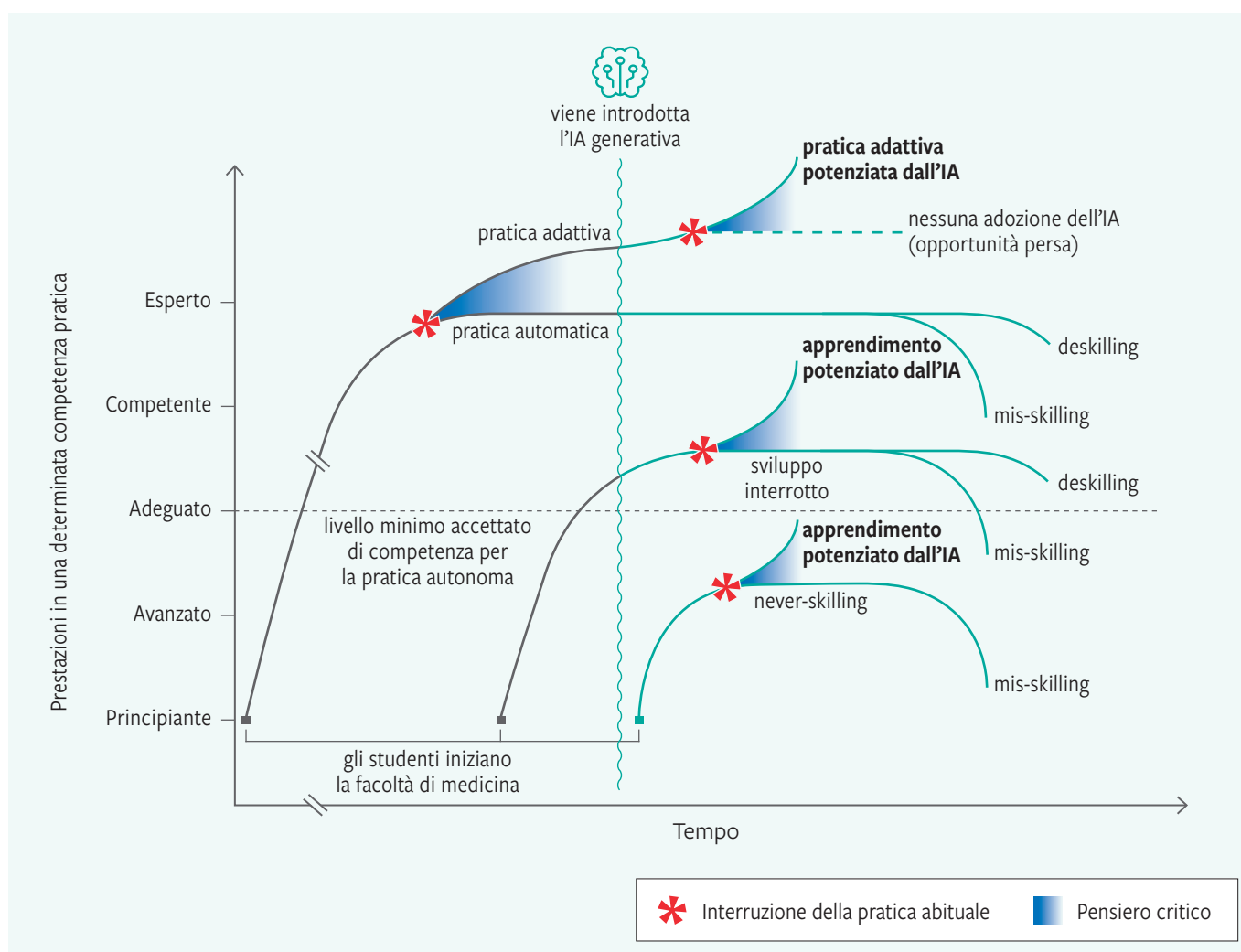
L'intelligenza artificiale promette di renderci più efficienti: diagnosi più rapide, risposte immediate e un supporto costante al ragionamento clinico. Ma può anche renderci medici migliori? L'immagine, tratta da una review del New England Journal of Medicine (NEJM 2025;393:786-797), mostra come l'AI possa modificare la traiettoria con cui si sviluppano le competenze cliniche. Attraverso l'esperienza, la pratica e il pensiero critico impariamo

a superare gli automatismi e ad adattare il nostro ragionamento quando qualcosa interrompe la routine (**vedete nell'immagine il passaggio indicato con l'asterisco**). Ed è qui che l'AI può diventare un alleato, potenziando l'apprendimento e favorendo una pratica più adattiva.

Attenzione, però, a non delegare troppo: il rischio è perdere competenze già acquisite (deskilling), svilupparne

di inappropriate (mis-skilling) o, se l'AI viene introdotta troppo precocemente, non acquisirle affatto (never-skilling).

La sfida, quindi, non è scegliere tra medico e AI, ma imparare a farli lavorare insieme, con l'obiettivo di **ampliare il ragionamento clinico, non sostituirlo**.



Modificato da N Engl J Med. 2025;393(8):786-797.

Teplizumab

Una terapia ponte verso la cura definitiva del Diabete Mellito Tipo 1 (DMT1)

Di che farmaco si tratta?

Il Teplizumab è un anticorpo monoclonale anti-CD3 che mira a ritardare il passaggio dallo stadio 2 allo stadio 3 (clinico) del DMT1, con evidenze positive anche sul prolungamento della cosiddetta "luna di miele" successiva all'esordio clinico della malattia.

Quali sono gli stadi del DMT1?

È una malattia il cui esordio, spesso acuto e in corso di chetoacidosi diabetica, ha un profondo impatto sui bambini e le loro famiglie. Si classifica in tre stadi: stadio 1 (comparsa di autoanticorpi con metabolismo glucidico normale), stadio 2 (disglicemia asintomatica) e infine lo stadio 3 (diabete conclamato sintomatico).

Come funziona il farmaco?

Agisce legandosi al recettore CD3 sui linfociti T autoreattivi. In questo modo disattiva l'attacco immunitario contro le cellule beta pancreatiche,

preservandole. I dati mostrano che questo meccanismo riesce a ritardare l'esordio del diabete in media di 24 mesi, evitando l'insorgenza di quadri clinici acuti. Ci sono evidenze anche sul prolungamento della cosiddetta "luna di miele" dopo l'esordio dello stadio 3.

Chi è eleggibile al trattamento e come si somministra?

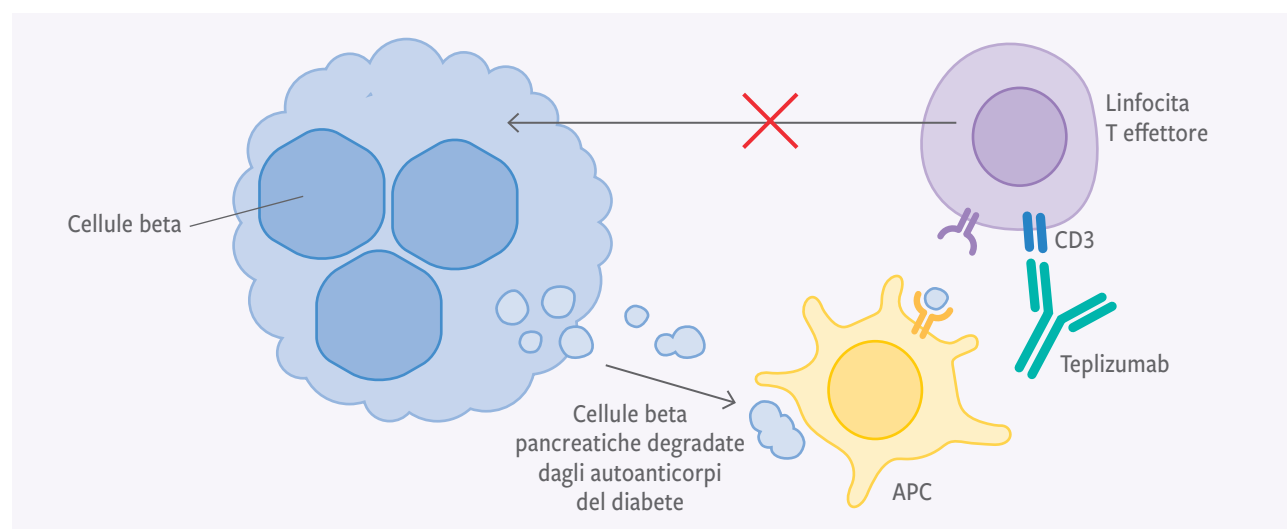
Attualmente il farmaco è approvato per i bambini >8 anni che si trovano nello stadio 2 della malattia. La terapia viene somministrata attraverso un ciclo di infusioni della durata di 14 giorni (pur potendo presentare lievi effetti avversi transitori come linfopenia transitoria, rash, sindromi da rilascio citochinico lievi).

Che ruolo potrà avere?

Più che una soluzione definitiva, il Teplizumab potrebbe rappresentare una "terapia ponte", capace di proteggere la funzione β -cellulare

residua in attesa di cure risolutive (p.e. farmaci immunomodulatori, impianto di cellule β -pancreatiche sottocute e riprogrammazione cellulare). Il suo utilizzo richiede uno screening per intercettare i bambini asintomatici in stadio 2. Quello mirato sui parenti di primo grado (rischio 15x) escluderebbe l'85-90% dei casi senza familiarità; quello universale rilevarebbe quasi tutti i pazienti, ma comportando alti costi per l'SSN e rischi di sovramedicalizzazione.

Il pediatra di famiglia resta centrale nella gestione: per i fratelli di soggetti con T1D, può prevedere counseling, screening anticorpale precoce (anti-insulina, anti-GAD, anti-IA2, anti-ZnT8) e stretto monitoraggio glicemico. Intercettare la disglicemia in stadio 2 permette infatti l'invio tempestivo al Centro di Riferimento, trasformando la sorveglianza in opportunità terapeutica.



Modificato da N Engl J Med. 2019.