

FARMACI ORFANI E GALENICA CLINICA: UN CASE REPORT

S. Rossetti (2), G. Petraghani (1), S. Cioffi (1), C. Spoltore (1), F. De Vita (1)
(1) Farmacia Interna, P.O. Renzetti-Lanciano (CH)
(2) Farmacia Ospedaliera, Scuola di Specializzazione-Università Sapienza (Roma)

INTRODUZIONE

Il farmaco orfano è quel prodotto potenzialmente utile per trattare una malattia rara ma che non ha un mercato sufficiente per ripagare le spese del suo sviluppo". Il tacrolimus sciroppo è un farmaco molto particolare appartenente alla classe degli immunosoppressori, cioè i farmaci solitamente prescritti dopo i trapianti di organo (fegato, rene, cuore, midollo osseo). Il suo utilizzo nella sindrome nefrosica cortico-resistente è addotto dalla motivazione della mancata efficacia delle terapie in labe praticate e dalla documentazione scientifica a supporto.

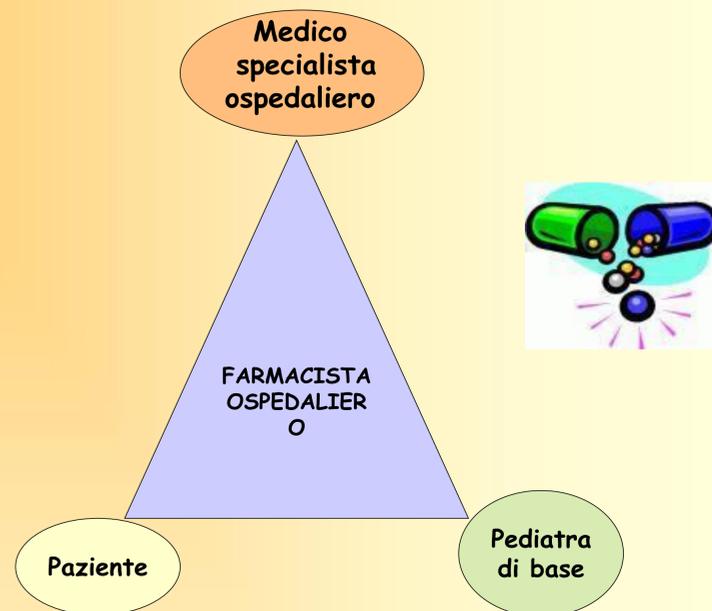
MATERIALI E METODI

Abbiamo analizzato il caso clinico, bambino di 3 anni affetto da Sindrome nefrosica cortico-resistente con esordio ad aprile 2020, non rispondente al cortisone. In seguito a consulenza presso la Nefrologia e Dialisi dell'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù viene attuata terapia con ciclosporina, mostrando una situazione di sindrome nefrosica in recidiva con funzione renale normale, proteinuria importante, ciclosporina livello adeguato-alto (720), elettroliti alti. Si ricorre all'impiego off-label del Tacrolimus in formulazione sciropposa 1 mg x2 die, dopo assenso della Direzione Sanitaria della nostra Asl, e consenso informato del paziente.

RISULTATI

Il farmacista deve garantire la tracciabilità documentale del Farmaco (ricetta, foglio di lavorazione, etichettatura), la sua corretta conservazione, stoccaggio e gestione. Il farmacista ospedaliero rappresenta l'anello tra il farmaco che non esiste più o dal dosaggio non adeguato, essendo formulato solo per adulti, e pertanto raffigura il professionista che personalizza la terapia, lo adatta all'esigenza particolare del piccolo paziente. Il lavoro richiesto non è basato sulla quantità, ma sulla qualità, al fine di offrire un percorso, un ponte fra ospedale e il territorio li dove le specialità medicinali non esistono, inoltre svolge un'azione di raccordo fra paziente e le diverse figure professionali (pediatra, specialista) impegnate nel percorso clinico.

Attori coinvolti nella assistenza



CONCLUSIONI

L'allestimento di preparati galenici magistrali e officinali è un'attività sempre più rilevante in ambito ospedaliero. Il farmacista, esperto di preparazioni galeniche, svolge il ruolo di farmacista clinico quando, in collaborazione con il medico, valuta, studia e verifica i preparati allestiti per il singolo paziente, in particolar modo in pediatria, in cui dosaggi e formulazioni sono spesso mancanti. La mancanza di formulazioni specifiche e di dosaggi adeguati comporta che possono essere somministrati ai bambini dosi insufficienti o eccessive e di conseguenza tossiche di farmaci. L'attività del farmacista è quella di compensare il gap che l'industria farmaceutica e le leggi in vigore non riescono a superare, in favore delle cure e della salute della popolazione pediatrica. Lo sciroppo allestito ha permesso la cura della patologia in essere del nostro piccolo paziente.

