



FONDAZIONE
INTERNAZIONALE
MENARINI

Comunicato stampa

Farmaci e terapie a “misura” di bambino

A Firenze un simposio internazionale per discutere di ricerca in pediatria

L'ospedale pediatrico Meyer all'avanguardia nel trattamento chirurgico dell'epilessia

Lunedì 16 marzo 2015 - Firenze centro mondiale della ricerca in pediatria grazie al simposio internazionale dal titolo **“Clinical research in pediatrics”**, **organizzato dall'Università di Firenze, dall'ospedale pediatrico Meyer di Firenze, dal Comitato Etico Pediatrico della Regione Toscana, e promosso dalla Fondazione Internazionale Menarini.**

In discussione i nuovi regolamenti europei in tema di ricerca clinica, in particolare in ambito pediatrico, e le moderne procedure chirurgiche per il trattamento dell'epilessia.

Per quanto riguarda la ricerca, oggi i farmaci che vengono utilizzati nel bambino spesso vengono somministrati senza aver fatto un percorso registrativo specifico, basandosi soltanto su studi condotti con pazienti adulti. È quindi importante che si conducano ricerche cliniche in pediatria. «In Toscana è stato costituito un comitato etico pediatrico, sezione del comitato unico regionale: E' un segnale che la Regione dà per quanto riguarda la ricerca in pediatria» esordisce Alessandro Mugelli, Presidente del Comitato Etico Pediatrico della Regione Toscana e docente al Dipartimento di Neuroscienze, Area del Farmaco e Salute del Bambino dell'Università di Firenze.

«**Attualmente la realizzazione di ricerche in pediatria incontra molti problemi** perché si ha a che fare con una popolazione fragile a cui bisogna porre molta attenzione. La conseguenza però è che attualmente la metà dei farmaci che vengono utilizzati nei bambini non sono stati studiati nei pazienti di questa età» prosegue Mugelli. Lo scopo di questo convegno è stato anche quello di favorire una

ricerca in pediatria, sia da parte delle aziende, sia quella indipendente, creando le condizioni perché questa ricerca possa essere fatta nel miglior modo possibile, nell'ottica di poter generare farmaci e interventi utili a prendersi cura di questa fascia così importante della nostra popolazione».

Sull'argomento è intervenuto anche Luca Pani, Direttore di AIFA, Agenzia Italiana del Farmaco, che ha illustrato i cambiamenti che la ricerca in ambito pediatrico dovrà sostenere nel prossimo futuro. **«La nuova struttura del regolamento pediatrico a livello europeo sui clinical trial, diventa totalmente operativo dal 2016 ma è già attivo dal luglio 2014.** Tra le novità, una particolare attenzione per la pediatria soprattutto per i cosiddetti PIP (pediatric investigation plan), un cambiamento nel ruolo dei comitati etici, con la presenza di un rappresentante della società civile, una totale trasparenza, perché tutto il materiale va on line ed è consultabile liberamente» spiega Pani. «Non va dimenticato che la pediatria prevede innumerevoli precauzioni e competenze avanzate, simile a quelle richieste per studi speciali come quelli su farmaci orfani o per le terapie molto avanzate, come quelle biotecnologiche. Di fatto lo sforzo di aumentare la ricerca in pediatria ha un respiro mondiale, e si sta osservando uno sforzo di tutti gli stati, dall'Europa agli Usa, dal Sudamerica, al Giappone, alla Cina, perché abbiamo bisogno di normative omogenee, abbiamo bisogno di rivolgere ai bambini di un'attenzione particolare, anche per scusarci e ripagarli di questi anni in cui nelle ricerche cliniche sono stati applicati criteri di esclusione per i soggetti al di sotto dei diciotto anni».

Per quanto riguarda la pratica clinica, in occasione del simposio, sono stati presentati i risultati raggiunti nella diagnosi e nel trattamento dell'epilessia, a iniziare dalla definizione dei cosiddetti fenotipi, cioè le manifestazioni cliniche legate a una determinata causa genetica. «E' importante stabilire con esattezza quando questo processo si instaura al fine di intervenire con terapie mirate che possano arrestare il fenomeno involutivo» spiega Renzo Guerrini, Direttore dell'Unità Operativa Complessa alla Clinica di Neurologia Pediatrica Meyer. «E' inoltre fondamentale arrivare presto a una diagnosi per prevenire la comparsa di altri casi nella stessa famiglia o poter comunque dare indicazioni precise alle famiglie sul rischio di ricorrenza».

Al simposio, Flavio Giordano, Neurochirurgo dell'Ospedale Pediatrico Meyer di Firenze, ha presentato i risultati raggiunti nel trattamento chirurgico dell'epilessia. **«La chirurgia nell'epilessia consiste nell'effettuare interventi di asportazione di parti cerebrali responsabili di forme di epilessia non sensibili al trattamento farmacologico.** Questo tipo di procedure chirurgiche ha come obiettivo quello di togliere non soltanto zone malate di cervello, come avviene per esempio nelle patologie tumorali, ma mira a ristabilire il normale funzionamento del cervello» spiega Giordano. «Fino a oggi a Firenze sono state eseguite più di duecento procedure chirurgiche e i risultati nella chirurgia di resezione sono molto buoni. Possono essere eseguite procedure di resezione pura, cioè la vera e propria asportazione delle aree epilettogene. In questi casi si riesce a rimuovere in blocco la malformazione che è causa delle crisi e si ottiene la scomparsa delle manifestazioni epilettiche nel 70-80% dei bambini. Oppure si ricorre a procedure più complesse di disconnessione di parti cerebrali o ancora a procedure di neuromodulazione, in cui non si rimuove tessuto, ma si applicano dispositivi per l'erogazione di correnti a livello intracerebrale per cercare di rimodulare quei circuiti epilettogeni che non rispondono alla malattia. Questa è una chirurgia palliativa, che

si applica quando la chirurgia di resezione non si può percorrere, perché la malformazione è troppo estesa, o è bilaterale, oppure coinvolge zone non sacrificabili, come quella del linguaggio o quella motoria. Però anche quando l'asportazione non è completa, per una serie di meccanismi intrinseci a queste malformazioni si osserva comunque uno "spegnimento" dell'epilessia e anche in questi casi si raggiunge un miglioramento significativo. Non va sottovalutato anche che più precoce è la chirurgia dell'epilessia, più si mantengono i risultati nel tempo, sono meno frequenti le recidive, e lo sviluppo psicomotorio del bambino si stabilizza». Da sottolineare infine che a Firenze si esegue il maggior numero di questi interventi ad altissima specializzazione, realizzati soltanto in altri 3-4 centri in Italia, e che per questo motivo il Meyer di Firenze accoglie ogni anno decine di piccoli pazienti provenienti da altre regioni.

Ufficio stampa:

Marco Strambi

Phone: 328 3979185

E-mail: marco.strambi@ibiscomunicazione.it

FONDAZIONE INTERNAZIONALE MENARINI

Edificio L - Strada 6

Centro Direzionale Milanofiori

I-20089 Rozzano (Milan, Italy)

Phone: +39 02 55308110

E-mail: eibrahim@fondazione-menarini.it

E-mail: fgaias@fondazione-menarini.it

<http://www.fondazione-menarini.it>