

# Pensiamo a curare bene

## I bambini con deficit della crescita



**B**ambini che non crescono di statura come dovrebbero. Bambini col pericolo di avere una riduzione dello spessore del cuore con una riduzione della sua contrazione. Bambini con possibili alterazioni dello sviluppo puberale e problemi renali e psicologici. La causa? Un deficit dell'ormone della crescita (GH) prodotto dall'ipofisi, la cui funzione è quella di stimolare la crescita delle ossa e delle cartilagini, promuove la crescita di tutti gli organi, stimolando la replicazione cellulare, contribuire al benessere psico-fisico. Ha importanti azioni anche sul metabolismo, con la riduzione del deposito di grassi, la regolazione degli zuccheri nel sangue, stimola la sintesi di proteine e interviene sulla crescita dei muscoli. Possibile immaginare la gravità della situazione in cui si trovano questi piccoli e l'ansia che attanaglia le loro famiglie.

Per fortuna oggi (ma è basilare

la diagnosi precoce) sono disponibili ottime terapie, ma vanno protratte per anni e anni e giornalmente. Nella maggior parte dei casi la cura viene interrotta 2-3 anni dopo il completamento dello sviluppo puberale. Nei casi di severo difetto, la terapia deve essere proseguita anche in età adulta, sia pure con dosaggi e frequenze di somministrazione differenti rispetto a quelli usati in età pediatrica.

I successi terapeutici in questo delicato settore crescono grazie a nuove ed efficaci terapie biologiche. Esistono formulazioni già pronte per l'utilizzo, dispositivi con aghi sempre più sottili per una somministrazione sotto cute quotidiana. Dobbiamo sempre avere presente che si tratta di bambini con le paure e le ansie per un trattamento che va attuato tutti i giorni.

A Palermo, di recente si è tenuto all'Ordine dei Medici un incontro tra endocrinologi, pediatri e rappresentanti delle Istituzioni regionali e locali onde assicurare l'acces-

so alle migliori terapie, assicurando la sostenibilità della spesa sanitaria.

E i problemi sul tappeto sono stati non pochi, problemi che potrebbero essere risolti da un Commissione regionale, ma questa non viene convocata da anni. Il dottore Alessandro Oteri del Dipartimento per la Pianificazione Strategica dell'assessorato regionale della Salute, si impegna a farsi portavoce dell'esigenza rappresentata dagli endocrinologi perché il tavolo si riunisca al più presto. Staremo a guardare. Oteri auspica una riduzione della spesa farmaceutica per l'ormone della crescita (oggi è l'1%) con l'utilizzo di farmaci biotecnologici a basso costo, un aiuto alla sostenibilità della spesa.

In Sicilia, gli affetti da deficit dell'ormone della crescita sono circa duemila, ma non esistono dati epidemiologici certi. Solo la Asp di Palermo ne ha in carico 535, un quarto di tutta l'Isola. E il dottore **Maurizio Pastorello**, diretto-



Cinzia Sacchetti



Alessandro Oteri



Piernicola Garofalo



Antonino Belfiore

## *Si tratta sempre di piccole creature con le loro paure e ansie, che subiscono un trattamento che va attuato tutti i giorni*

re del Dipartimento farmaceutico dell'Asp di Palermo chiede l'utilizzo dei farmaci a costo minore nei nuovi casi che si presentano.

È inequivocabile la risposta della dottoressa **Manuela Caruso Nicoletti**, docente di Pediatria generale e specialistica all'università di Catania: "La terapia non può mai essere uguale in tutti i bambini, ma va ritagliata su misura, a seconda dell'età, della diagnosi, dello sviluppo cognitivo, della situazione familiare. Il medico che lo ha in cura deve poter scegliere il farmaco che ritiene più adatto al singolo caso. Di certo, nessuno di noi ama gli sprechi".

Dello stesso avviso il professore **Antonino Belfiore**, ordinario di endocrinologia all'università di Catania. "Nessuno – sostiene – è contro i biotecnologici a più basso costo. Ma non scordiamo, che ogni bambino ha diritto al miglior iter diagnostico-terapeutico personalizzato".

Presente al dibattito la dottores-

sa **Cinzia Sacchetti**, presidente nazionale dell'Associazione famiglie di soggetti con deficit dell'ormone della crescita che conclude: "Al centro di tutto deve essere messo il piccolo paziente che va rispettato e curato col farmaco più giusto".

All'incontro denunciata la 'perplexità' sul decreto assessoriale (540/14) che risale all'agosto del 2015, ma ancora in vigore, sull'improprietà di trattamento in cui può cadere il medico ed essere sanzionato. A dirla tutta, un decreto in cui alcuni punti lasciano stupiti. Viene definito inappropriato un trattamento con lo stesso farmaco in due bambini della stessa famiglia con deficit dell'ormone della crescita. In altre parole, uno deve essere curato in un modo e l'altro con terapia diversa, sennò il curante entra nella lista delle inapproprietezze. Ma si può mai credere a una cosa simile?

Altro esempio incredibile d'inappropriatezza: "Occorre badare al minor costo per ciclo di terapia". Allora, è in errore di inappropriatez-

za il medico che utilizza un prodotto che, secondo la sua esperienza è più indicato al caso, ma costa di più? Si rimane senza parole.

"Giusto il contenimento della spesa – osserva il dottore **Piernicola Garofalo**, dirigente dell'Unità Malattie Endocrine degli ospedali riuniti Villa Sofia-Cervello – purché non si scontri con la libertà del medico di decidere, caso per caso, qual è il farmaco migliore da impiegare".

### **Gli strumenti per iniettare l'ormone della crescita**

- Sistemi "a penna" o auto-iniettori: il loro aspetto è molto simile a quello di una grossa penna stilografica e contengono un ago e una siringa che rimangono nascosti alla vista. Schiacciando un pulsante l'ago si inserisce sottocute e l'ormone viene automaticamente iniettato. Offrono la convenienza di una dose pre-determinata, generalmente i bambini li trovano pratici e l'iniezione è praticamente indolore.

- Auto-iniettori con penne da insulina: utilizzano siringhe da insulina e nascondono l'ago, un modo per facilitare la terapia nei bambini piccoli e nei fanciulli che si possono somministrare la terapia da soli.

- Iniettori senza ago: con questo sistema, non viene utilizzato l'ago e l'ormone viene somministrato usando un sistema con aria ad alta pressione.

### **Sentenza Corte Costituzionale 169/17**

Appropriatezza prescrittiva. "La previsione legislativa non può precludere al medico la possibilità di valutare, sulla base delle più aggiornate e accreditate conoscenze tecnico-scientifiche, il singolo caso sottoposto alle sue cure, individuando di volta in volta la terapia ritenuta ad assicurare la tutela della salute del paziente".