



[www.printo.it/pediatric-rheumatology/CH\\_IT/intro](http://www.printo.it/pediatric-rheumatology/CH_IT/intro)

## Le Terapie Farmacologiche

Versione 2016

### 5. Azatioprina

#### 5.1 Descrizione

L'azatioprina è un farmaco che riduce l'immunità. Funziona interferendo con la produzione di DNA, un processo a cui devono sottoporsi tutte le cellule per dividersi. L'inibizione delle funzioni del sistema immunitario è di fatto dovuta agli effetti del farmaco sulla crescita di un tipo di globuli bianchi (linfociti).

#### 5.2 Dosaggio/modalità di somministrazione

È somministrata per via orale a un dosaggio di 2-3 mg per kg al giorno, fino a un massimo di 150 mg al giorno.

#### 5.3 Effetti collaterali

Sebbene di solito sia tollerata meglio della ciclofosfamide, l'azatioprina può avere alcuni effetti collaterali che necessitano un attento monitoraggio. La tossicità al tratto gastrointestinale (ulcere orali, nausea, vomito, diarrea, dolore epigastrico) è comune. La tossicità epatica si può verificare ma è rara. Si può manifestare una riduzione del numero di globuli bianchi circolanti (leucopenia) e nella maggior parte dei casi è legata al dosaggio; meno comune è la riduzione del numero di piastrine o globuli rossi. Circa il 10% dei pazienti presenta un rischio maggiore di complicanze ematologiche (citopenia, o una diminuzione dei globuli bianchi, globuli rossi o piastrine) dovuto a un possibile difetto genetico (deficit di tiopurina metiltransferasi parziale - TPMT - anche noto come polimorfismo genetico). Tale difetto può essere verificato

---

prima di iniziare il trattamento e il controllo dell'emocromo può essere svolto 7-10 giorni dopo l'esordio del trattamento e quindi a intervalli regolari mensili o bimestrali.

L'uso di azatioprina a lungo termine in teoria può essere associato a un maggior rischio di tumore ma finora non vi sono prove definitive.

Come con altri agenti immunosoppressori, il trattamento espone il paziente a un rischio maggiore di infezioni; in particolare l'infezione da herpes zoster si manifesta con una maggiore frequenza nei pazienti trattati con azatioprina.

#### **5.4 Principali indicazioni nelle malattie reumatologiche pediatriche**

Lupus eritematoso sistemico giovanile

Alcune vasculiti sistemiche pediatriche.

Nuovi farmaci sono in fase di sviluppo da parte di società farmaceutiche e ricercatori clinici appartenenti al Paediatric Rheumatology International Trials Organisation (PRINTO, Organizzazione internazionale di trial in reumatologia pediatrica) e al Paediatric Rheumatology Collaborative Study Group (PRCSG, gruppo di studio collaborativo di reumatologia pediatrica, [www.prcsg.org](http://www.prcsg.org)). PRINTO e PRCSG sono impegnati nella revisione di protocolli, moduli di segnalazione casi, raccolta dati, analisi di dati e segnalazione di dati nella letteratura medica.

Prima che un nuovo farmaco possa essere prescritto, deve essere attentamente testato per valutare la sua sicurezza e la sua capacità di trattare i pazienti deve essere stabilita per mezzo degli studi clinici. In generale, lo sviluppo dei farmaci per i bambini segue quello per gli adulti, quindi a questo punto alcuni farmaci potrebbero essere disponibili soltanto per gli adulti. Con un numero crescente di farmaci a disposizione, l'uso off-label si dovrebbe verificare meno frequentemente. Potreste dare il vostro aiuto allo sviluppo di un nuovo farmaco partecipando a uno studio clinico.

Per ulteriori informazioni vi invitiamo a consultare i seguenti siti Web:

PRINTO [www.printo.it](http://www.printo.it) [www.pediatric-rheumatology.printo.it](http://www.pediatric-rheumatology.printo.it)

PRCSG [www.prcsg.org](http://www.prcsg.org)

Studi clinici in corso:

[www.clinicaltrialsregister.eu/](http://www.clinicaltrialsregister.eu/)

---

[www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

Piani per lo sviluppo di nuovi farmaci per i bambini in Europa:

[www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/landing/pip\\_search.jsp&mid=WC0b01ac058001d129](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/landing/pip_search.jsp&mid=WC0b01ac058001d129)

Farmaci autorizzati per l'uso nei bambini:

[www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

<http://labels.fda.gov> <http://labels.fda.gov>