



<https://printo.it/pediatric-rheumatology/PL/intro>

## Leczenie Farmakologiczne

Wersja 2016

### Wprowadzenie

W tym rozdziale podano informacje o lekach powszechnie stosowanych w leczeniu chorób reumatycznych wieku rozwojowego. Każdy podrozdział podzielono na 4 główne części.

### Opis

Ta część zawiera podstawowe informacje o leku, mechanizmie jego działania i oczekiwanych działaniach niepożądanych.

### Dawkowanie/sposób podania

W tej części podano dawkowanie leku, zwykle w mg na kg na dzień lub w mg na powierzchnię ciała (metry kwadratowe) oraz informacje o sposobie podania leku (np. tabletki, zastrzyki, infuzje).

### Działania niepożądane

W tej części omówiono najpowszechniejsze działania niepożądane.

### Główne wskazania w chorobach reumatycznych wieku rozwojowego

W końcowej części podano listę chorób reumatycznych wieku rozwojowego, w których lek jest wskazany do stosowania. Wskazanie oznacza, że lek został przebadany szczególnie pod kątem jego działania u dzieci, a organy regulacyjne, takie jak Europejska Agencja Leków (European Medicines Agency, EMA) albo amerykańska Agencja Żywności i Leków (Food and Drug Administration, FDA) i inne, pozwalają na stosowanie go u dzieci. W pewnych przypadkach lekarz prowadzący może zdecydować się przepisać dany lek, nawet jeśli nie ma specjalnego pozwolenia.

### Przepisy pediatryczne, stosowanie rejestracyjne i pozarejestracyjne oraz przyszłe możliwości terapeutyczne

Jeszcze 15 lat temu wszystkie leki stosowane w leczeniu MIZS oraz

---

wielu innych chorób dziecięcych nie były odpowiednio przebadane na dzieciach. Oznacza to, że lekarze przepisywali leki, kierując się własnym doświadczeniem lub badaniami prowadzonymi na dorosłych pacjentach. Rzeczywiście, w przeszłości prowadzenie badań klinicznych z zakresu reumatologii dziecięcej było trudne, głównie ze względu na brak finansowania badań u dzieci oraz brak zainteresowania ze strony firm farmaceutycznych małym i nieopłacalnym rynkiem pediatrycznym. Kilka lat temu sytuacja diametralnie się zmieniła. Było to spowodowane wprowadzeniem w USA ustawy o najlepszych środkach farmaceutycznych dla dzieci, a w Unii Europejskiej (UE) szczególnych przepisów dotyczących rozwoju leków stosowanych w pediatrii (Rozporządzenie Pediatryczne). Inicjatywy te zmusiły firmy farmaceutyczne do badań także nad lekami stosowanymi u dzieci. Inicjatywy USA i UE oraz działalność dwóch dużych sieci: Międzynarodowej Organizacji Badawczej Reumatologów Dziecięcych (ang. Paediatric Rheumatology International Trials Organisation, PRINTO, [www.printo.it](http://www.printo.it)), która zrzesza ponad 50 krajów na całym świecie, i Wspólnej Grupy Badawczej Reumatologów Dziecięcych (ang. Paediatric Rheumatology Collaborative Study Group – PRCSG, [www.prcsg.org](http://www.prcsg.org)), z siedzibą w Ameryce Północnej, miały pozytywny wpływ na rozwój reumatologii dziecięcej, w szczególności na rozwój nowych metod leczenia dzieci z MIZS. W tych badaniach klinicznych wzięły udział setki rodzin dzieci z MIZS, leczonych w ośrodkach PRINTO lub PRCSG na całym świecie, umożliwiając tym samym leczenie wszystkich dzieci z MIZS lekami opracowanymi specjalnie dla nich. Czasami udział w badaniach wymagał podania placebo (tj. tabletki lub infuzji pozbawionej substancji aktywnej), aby upewnić się, że badany lek przynosi więcej korzyści niż szkód. Dzięki tym niezwykle istotnym możliwościom istnieje obecnie kilka leków zatwierdzonych konkretnie do leczenia MIZS. Oznacza to, że organy regulacyjne, takie jak amerykańska Agencja Żywności i Leków (Food and Drug Administration, FDA), Europejska Agencja Leków (European Medicine Agency, EMA) i kilka organów krajowych dokonały korekty danych naukowych pochodzących z badań klinicznych i pozwoliły firmom farmaceutycznym na umieszczenie na etykiecie informacji, że lek jest skuteczny i bezpieczny dla dzieci. Lista leków zatwierdzonych konkretnie do leczenia MIZS obejmuje metotreksat, etanercept, adalimumab, abatacept, tocilizumab i kanakinumab.

---

Obecnie trwają badania również nad innymi lekami, dlatego Pana(-i) dziecko może zostać poproszone przez swojego lekarza o uczestniczenie w nich.

Istnieją inne leki, które nie zostały formalnie zatwierdzone do stosowania w MIZS, takie jak kilka niesteroidowych leków przeciwzapalnych, , azatiopryna, cyklosporyna, anakinra i infliximab. Leki te można stosować bez zatwierdzonego wskazania (jest to tzw. pozarejestracyjne stosowanie leków), a lekarz może zaproponować ich użycie, zwłaszcza jeśli nie istnieją inne dostępne metody leczenia.

### **Przestrzeganie zasad**

Największe znaczenie w utrzymaniu dobrego zdrowia ma przestrzeganie zasad leczenia, zarówno w krótkim okresie, jak i długofalowo.

Przestrzeganie zasad leczenia to postępowanie zgodnie z zaleceniami lekarza prowadzącego; może ono obejmować różne elementy składowe: konsekwentne przyjmowanie leku, rutynowe badania w klinice, regularną fizjoterapię, dalsze badania laboratoryjne pod kątem obserwacji itp. Elementy te łączą się, tworząc kompleksowy program, dzięki któremu można walczyć z chorobą, który wzmacnia organizm dziecka i utrzymuje je w dobrym zdrowiu. Częstość i dawkowanie leków zależy od potrzeby utrzymania określonego poziomu leku w organizmie. Niestosowanie się do tego wymagania może skutkować nieefektywnie niskim stężeniem leku u pacjenta i zwiększać ryzyko zaostrzenia objawów choroby. Aby do tego nie dopuścić, należy regularnie przyjmować leki doustne i zastrzyki.

Najbardziej powszechną przyczyną braku poprawy stanu zdrowia podczas leczenia jest niestosowanie się do zaleceń. Przestrzeganie wszystkich szczegółów harmonogramu leczenia zaleconego przez lekarza i zespół lekarski wyraźnie zwiększa szansę na osiągnięcie fazy remisji. Realizowanie różnych punktów leczenia czasem może być obciążeniem dla rodziców i opiekunów. Niemniej jednak to na nich spoczywa obowiązek upewnienia się, że dziecko otrzymuje najlepszą szansę powrotu do zdrowia. Niestety, w miarę jak dziecko dorasta, zwłaszcza gdy wchodzi w okres dojrzewania, przestrzeganie zaleceń staje się coraz większym problemem. Nastolatki nie chcą uznać siebie za pacjentów i pomijają niewygodne dla nich elementy leczenia. Dlatego też w tym okresie często zdarzają się fazy zaostrzenia objawów choroby. Ścisła realizacja harmonogramu leczenia zapewnia największe szanse na remisję i poprawę jakości życia.

