

**FARMACI CON EVIDENZA SCIENTIFICA A SUPPORTO DELL'USO IN PEDIATRIA
PER INDICAZIONI TERAPEUTICHE DIVERSE DA QUELLE AUTORIZZATE**

ATC = G-H (apparato genito-urinario e ormoni sessuali)

Principio attivo	Indicazione pediatrica autorizzata	Posologia pediatrica autorizzata	Indicazioni terapeutiche autorizzate	Uso off-label che si vuole autorizzare	Evidenze a sostegno del bisogno terapeutico	Presenza di almeno 1 RCT SI/NO	BNF, Guida Farmaci
CIPROTERONE ACETATO	nessuna	no	Riduzione dell'istinto sessuale patologicamente aumentato od alterato nell'uomo adulto (ipersessualita' o deviazioni sessuali); Trattamento del carcinoma prostatico inoperabile	fase iniziale del trattamento inibitorio della pubertà con analoghi del GnRH in bambini con pubertà precoce.	Watanabe S, et al. Follow-up study of children with precocious puberty treated with cyproterone acetate. Ad hoc Committee for CPA. J Epidemiol. 1997 Sep;7(3):173-8. Bertelloni S, et al Long-term outcome of male-limited gonadotropin-independent precocious puberty. Horm Res. 1997;48(5):235-9. Antoniazzi F, et al. Final height in girls with central precocious puberty: comparison of two different luteinizing hormone-releasing hormone agonist treatments. Acta Paediatr. 1994 Oct;83(10):1052-6..Larsen TH, Jemec GB. Acne: comparing hormonal approaches to antibiotics and isotretinoin. Expert Opin Pharmacother. 2003 Jul;4(7):1097-103. Utilizzo: Fase iniziale del trattamento inibitorio della pubertà con analoghi del GnRH in bambini con pubertà precoce. (biblio 1-6) Gli studi presenti in letteratura segnalano un rischio di insorgenza di cirrosi e di epatoma. (3) Tale rischio non è confermato da ulteriori studi di follow-up (l'ultimo studio che valuta queste correlazioni risale al 2000) Si tratta comunque di studi che hanno analizzato trattamenti di lunga durata, mentre le indicazioni si riferiscono ad una "fase precoce" quindi verosimilmente breve. • Utilizzo: Trattamento dell' acne e dell'irsutismo moderatamente importante (biblio 7-13) Diversi studi documentano l'efficacia di questo trattamento. Una revisione della Cochrane del 2003	SI	SI: indicazioni sdr. Di McCune-Albright (MAS), pubertà precoce familiare maschile, nelle donne, in associazione con etinilestradiolo, nel trattamento dell'acne e dell'irsutismo moderatamente importante POSOLOGIA non indicata BFN 2005: gonadotrophin-independent precocious puberty ??

Principio attivo	Indicazione pediatrica autorizzata	Posologia pediatrica autorizzata	Indicazioni terapeutiche autorizzate	Uso off-label che si vuole autorizzare	Evidenze a sostegno del bisogno terapeutico	Presenza di almeno 1 RCT SI/NO	BNF, Guida Farmaci
					sottolinea il bisogno di ulteriori studi per valutare il profilo di sicurezza del farmaco fase iniziale trattamento inibitorio pubertà: 1: Horm Res. 1992;37(3):86-90. Final height attainment and gonadal function in girls with precocious puberty treated with cyproterone acetate. Cisternino M, Pasquino AM, Bozzola M, Balducci R, Lorini R, Pucarelli I, Segni M, Severi F. Department of Pediatrics, University of Pavia, Policlinico San Matteo IRCCS, Italy. 2.J Endocrinol Invest. 1981 Jul-Sep;4(3):263-70. Cyproterone acetate treatment in precocious puberty. Lorini R, Colombo A, Ugazio AG, Salvatoni A, Cisternino M, Larizza D, Polito E, Monafo V, Bozzola M, Severi F. 3.J Epidemiol. 1997 Sep;7(3):173-8. Follow-up study of children with precocious puberty treated with cyproterone acetate. Ad hoc Committee for CPA. Watanabe S, Cui Y, Tanaka A, Tanaka T, Fujimoto M, Matsuo Y, Tachibana K, Yamasaki S. 4. Eur J Pediatr. 1999 May;158(5):367-70. Cirrhosis in a child with hypothalamic syndrome and central precocious puberty treated with cyproterone acetate. Garty BZ, Dinari G, Gellvan A, Kauli R. 5: J Pediatr Endocrinol Metab. 2000 Jul;13 Suppl 1:805-10. Experience with cyproterone acetate in the treatment of precocious puberty. Laron Z, Kauli R. Acne e irsutismo: 7: Cochrane Database Syst Rev. 2003;(4):CD001125. Cyproterone acetate for hirsutism. Van der Spuy ZM, le Roux PA.		

Principio attivo	Indicazione pediatrica autorizzata	Posologia pediatrica autorizzata	Indicazioni terapeutiche autorizzate	Uso off-label che si vuole autorizzare	Evidenze a sostegno del bisogno terapeutico	Presenza di almeno 1 RCT SI/NO	BNF, Guida Farmaci
					8. Clin Endocrinol (Oxf). 1991 Jul;35(1):5-10. Cyproterone acetate for severe hirsutism: results of a double-blind dose-ranging study. Barth JH, Cherry CA, Wojnarowska F, Dawber RP. 9. Br Med J (Clin Res Ed). 1985 Nov 2;291(6504):1231-5. Acne: double blind clinical and laboratory trial of tetracycline, oestrogen-cyproterone acetate, and combined treatment. Greenwood R, Brummitt L, Burke B, Cunliffe WJ. 10. Br J Dermatol. 1986 Jun;114(6):705-16. Anti-androgen treatment in women with acne: a controlled trial. Miller JA, Wojnarowska FT, Dowd PM, Ashton RE, O'Brien TJ, Griffiths WA, Jacobs HS. 11: J Clin Endocrinol Metab. 1999 Apr;84(4):1304-10. A prospective randomized trial comparing low dose flutamide, finasteride, ketoconazole, and cyproterone acetate-estrogen regimens in the treatment of hirsutism. Venturoli S, Marescalchi O, Colombo FM, Macrelli S, Ravaoli B, Bagnoli A, Paradisi R, Flamigni C. 12: Clin Endocrinol (Oxf). 2002 Aug;57(2):231-4. A comparison of the relative efficacy of antiandrogens for the treatment of acne in hyperandrogenic women. Carmina E, Lobo RA. 13: Int J Gynaecol Obstet. 2004 Oct;87(1):29-33. Finasteride versus cyproterone acetate-estrogen regimens in the treatment of hirsutism. Beigi A, Sobhi A, Zarrinkoub F.		

Principio attivo	Indicazione pediatrica autorizzata	Posologia pediatrica autorizzata	Indicazioni terapeutiche autorizzate	Uso off-label che si vuole autorizzare	Evidenze a sostegno del bisogno terapeutico	Presenza di almeno 1 RCT SI/NO	BNF, Guida Farmaci
FINASTERIDE	nessuna	no	Iperplasia prostatica benigna.	irsutismo iperandrogenico dell'adolescenti	Beigi A, et al. Finasteride versus cyproterone acetate-estrogen regimens in the treatment of hirsutism. Int J Gynaecol Obstet. 2004 Oct;87(1):29-33. Lumachi F, et al. Use of cyproterone acetate, finasteride, and spironolactone to treat idiopathic hirsutism. Fertil Steril. 2003 Apr;79(4):942-6. Bayram F, et al. Comparison of high-dose finasteride (5 mg/day) versus low-dose finasteride (2.5 mg/day) in the treatment of hirsutism. Eur J Endocrinol. 2002 Oct;147(4):467-71. Numerosi studi dimostrano l'efficacia del Finasteride nel trattamento dell'irsutismo idiopatico. Non esiste tuttavia alcuno studio specificamente effettuato in pazienti adolescenti. 1: J Clin Endocrinol Metab. 1999 Apr;84(4):1304-10. A prospective randomized trial comparing low dose flutamide, finasteride, ketoconazole, and cyproterone acetate-estrogen regimens in the treatment of hirsutism. Venturoli S, Marescalchi O, Colombo FM, Macrelli S, Ravaioli B, Bagnoli A, Paradisi R, Flamigni C. 2: Fertil Steril. 1999 Jul;72(1):41-6. Comparison of finasteride and flutamide in the treatment of idiopathic hirsutism. Falsetti L, Gambera A. 3: J Clin Endocrinol Metab. 2000 Jan;85(1):89-94. Comparison of spironolactone, flutamide, and finasteride efficacy in the treatment of hirsutism: a randomized, double blind, placebo-controlled trial. Moggetti P, Tosi F, Tosti A, Negri C, Misciali C, Perrone F, Caputo M, Muggeo M, Castello R. 4: Clin Exp Obstet Gynecol. 2000;27(3-4):203-6. A comparative study of a gonadotropin-releasing	SI	Guida uso farmaci: NO BNF 2005: NO

Principio attivo	Indicazione pediatrica autorizzata	Posologia pediatrica autorizzata	Indicazioni terapeutiche autorizzate	Uso off-label che si vuole autorizzare	Evidenze a sostegno del bisogno terapeutico	Presenza di almeno 1 RCT SI/NO	BNF, Guida Farmaci
					hormone agonist and finasteride on idiopathic hirsutism. Bayhan G, BahÅşeci M, Demirkol T, Ertem M, Yalinkaya A, Erden AC. 5: Gynecol Endocrinol. 2003 Feb;17(1):57-63. The benefits of finasteride for hirsute women with polycystic ovary syndrome or idiopathic hirsutism. Lakryc EM, Motta EL, Soares JM Jr, Haidar MA, de Lima GR, Baracat EC. 7: Eur J Endocrinol. 2004 Mar;150(3):351-4. A comparison between spironolactone and spironolactone plus finasteride in the treatment of hirsutism. KeleÅŸtimur F, Everest H, UnlÅ¼hizarci K, Bayram F, Sahin Y.		
GLUCAGONE	nessuna	no	Trattamento degli episodi ipoglicemici gravi, Indicazioni diagnostiche Inibizione della motilità	Trattamento degli episodi ipoglicemici gravi	23 CT (12 RCT) esclusivamente pediatrici: 8 CT (4 RCT) ipoglicemia 2 RCT GH test	SI	BNF -C Licensed use: unlicensed for growth hormone test and hyperinsulinism Hypoglycaemia associated with diabetes Endogenous hyperinsulinism Diagnosis of growth hormone secretion Beta-blocker poisoning
IDROCORTISONE EMISUCCINATO	nessuna	no	Stati anafilattici allergici gravi. Asma; rinite allergica, Pleuriti; neoplasie pleuropolmonari, artrite reumatoide, periartriti scapolo-omerali; rigidità articolari; borsiti, tenosinoviti. Lombosciatalgie; algie radicolari; meningite tubercolare, coadiuvante nella rettocolite ulcerosa.	Iperplasia surrenalica congenita, Insufficienza adrenocortical e	66RCT esclusivamente pediatrici, 47 RCT escludendo l'uso topico (8 RCT iperplasia surrenalica congenita, 8 RCT asma, 4 RCT insufficienza adrenocorticale in neonati pre-termine)	SI	BNF-C Congenital adrenal hyperplasia; Acute adrenocortical insufficiency (Addisonian crisis); Adrenal hypoplasia, Addison's disease, chronic maintenance or replacement therapy; Inflammatory bowel disease-induction of remission; Severe acute asthma, acute

ALLEGATO P7 – LUGLIO 2012

Principio attivo	Indicazione pediatrica autorizzata	Posologia pediatrica autorizzata	Indicazioni terapeutiche autorizzate	Uso off-label che si vuole autorizzare	Evidenze a sostegno del bisogno terapeutico	Presenza di almeno 1 RCT SI/NO	BNF, Guida Farmaci
							hypersensitivity reactions, e.g. anaphylactic shock, angioedema; Hypotension resistant to inotropic treatment and volume replacement (limited evidence) Haemorrhoids; rheumatic disease; eye; skin