Uso di farmaci *Off-label* per il trattamento di pazienti pediatrici affetti da Trombocitopenia Immune: un'indagine sulle conoscenze e le percezioni dei genitori

Background

La ITP *(Immune ThrombocytoPenia)* è una patologia ematologica autoimmune caratterizzata da piastrinopenia isolata. Generalmente, in età pediatrica tale patologia regredisce spontaneamente entro sei mesi dalla diagnosi. Tuttavia, taluni pazienti pediatrici refrattari ai trattamenti convenzionali di prima linea, presentano una sintomatologia emorragica grave tale da richiedere trattamenti *Off-label* di secondo livello. Il presente studio si propone dunque di indagare le conoscenze e le percezioni dei genitori dei pazienti pediatrici affetti da ITP che assumono Micofenolato Mofetile o Sirolimus in modalità *Off-label*.

Materiali e Metodi

Per la conduzione dello studio è stato elaborato un questionario semi-strutturato volto ad indagare le conoscenze e le percezioni dei genitori circa l'uso di farmaci *Off-label* per la cura dei propri figli. I dati raccolti sono stati successivamente elaborati mediante un'analisi descrittiva del campione ed un'analisi inferenziale di base.

Risultati

Sono stati raccolti 20 questionari di cui 11 (55%) relativi a pazienti pediatrici per il cui trattamento è stato impiegato *Off-label* il Micofenolato Mofetile e 9 (45%) relativi a pazienti pediatrici per il cui trattamento è stato impiegato *Off-label* il Sirolimus. La quasi totalità dei risultati risulta essere non statisticamente significativa. Nonostante il numero limitato di soggetti arruolati nel presente studio, è tuttavia presente una differenza staticamente significativa ($p \leq 0,05$) tra i due gruppi in merito alla percezione della qualità di vita dei propri figli. È stata inoltre dimostrata una stretta correlazione tra gli strumenti educativi utilizzati per illustrare ai genitori il concetto di *"Farmaci Off-label"* e il loro grado di soddisfazione in merito.

Conclusioni

I risultati ottenuti nel presente studio sottolineano la necessità di garantire al paziente pediatrico affetto da ITP in terapia con farmaci *Off-label* un'assistenza infermieristica personalizzata affinché la qualità di vita non ne risenta eccessivamente e la sua famiglia possa affrontare con maggior serenità il percorso di cura. Sono auspicabili in futuro studi simili che comprendano un'ampiezza campionaria tale da consentire il raggiungimento di risultati statisticamente significativi.

Parole Chiave: *Paziente Pediatrico, Trombocitopenia Immune, Farmaci Off-label.*

Off-label use of drugs for the treatment of pediatric patients with Immune Thrombocytopenia: a survey of parents' awareness and attitudes

Background

Immune ThrombocytoPenia (ITP) is an autoimmune haematological disorder characterized by isolated thrombocytopenia. In pediatric age, this pathology often resolves spontaneously within six months of diagnosis. However, in pediatric patients with refractory ITP and severe bleeding symptoms the use of second line Off-label therapy is needed. The present study aims to investigate the knowledge and perceptions of parents of pediatric patients with ITP who take Mycophenolate Mofetil or Sirolimus in Off-label mode.

Materials and Methods

To realize this study, a semi-structured questionnaire was designed to investigate the parents' knowledge and attitudes about the Off-label use of drugs for the care of their children. The data collected were after processed by a descriptive statistical and a basic inferential analysis.

Results

At the end of the study, there were collected 20 questionnaires: 11 (55%) were pediatric patients treated in Off-label mode with Mycophenolate Mofetil and 9 (45%) were pediatric patients treated in Off-label mode with Sirolimus. Despite the limited number of subjects enrolled in the present study, there is a statically significant difference ($p \leq 0.05$) between the two groups about the perception of the quality of life of their children. A significant correlation between the educational tools used to illustrate the concept of "Off-label Drugs" and the parents' degree of satisfaction about it has also been demonstrated.

Conclusions

The results of this study underline that the pediatric patients affected by ITP in therapy with Off-label drugs need a personalized nursing assistance so that the quality of life is not affected too much and his family can face with more serenity the care plan. In the future similar studies with a greater sample size are desirable.

Keywords

Pediatric Patient, Off label Drugs, Immune Thrombocytopenia.