

EMA APPROVA ALKINDI PER IL TRATTAMENTO DELL'INSUFFICIENZA SURRENALICA PRIMARIA NEI NEONATI, BAMBINI E ADOLESCENTI

Responsabile Editoriale
Renato Cozzi

Il Comitato per i Medicinali per Uso umano (CHMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) ha raccomandato la concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio per uso pediatrico per Alkindi (idrocortisone), indicato per il trattamento dell'insufficienza surrenalica primaria nei neonati, bambini e adolescenti (1).

Il parere positivo del CHMP si basa sulla revisione dei dati dello studio clinico di fase III in aperto, condotto in 24 soggetti in età pediatrica che richiedevano terapia sostitutiva per insufficienza surrenalica per sindrome adreno-genitale, insufficienza surrenalica primitiva o ipopituitarismo. Sulla base di questi dati e di un *dossier* completo, il CHMP ha raccomandato l'uso del prodotto per pazienti pediatrici fino a 18 anni di età. Come indicano le linee guida (2), in età pediatrica si preferisce utilizzare l'idrocortisone (in 3-4 somministrazioni giornaliere, dose totale di partenza pari a 8 mg/m²) rispetto agli altri steroidi ed evitare steroidi sintetici a lunga emivita (come prednisolone e desametasone).

Alkindi è una **formulazione pediatrica specifica di idrocortisone**, che sarà disponibile nei dosaggi di 0.5 mg, 1 mg, 2 mg e 5 mg, allo **scopo di consentire un dosaggio più accurato per i bambini e un migliore mascheramento del gusto amaro**, che potrebbe essere particolarmente utile nei più piccoli. Attualmente i bambini vengono trattati con compresse frantumate della formulazione di idrocortisone per adulti, con il rischio di sotto- o sovra-dosaggio (3).

Il monitoraggio terapeutico va effettuato mediante un'attenta valutazione clinica, che includa velocità di crescita, peso corporeo, pressione arteriosa. Gli obiettivi principali della terapia steroidea sono, infatti, quelli di controllare i sintomi dell'insufficienza surrenalica con la dose minima di glucocorticoidi capace di consentire un adeguato accrescimento staturale e lo sviluppo puberale.

Il parere adottato dal CHMP nel corso del *meeting* di dicembre rappresenta un passo intermedio nel percorso di Alkindi verso l'accesso dei pazienti e sarà ora inviato alla Commissione Europea per l'adozione di una decisione sull'autorizzazione all'immissione in commercio in tutta l'Unione Europea. Una volta autorizzato, le decisioni riguardanti il prezzo e il rimborso saranno assunte da ciascuno Stato membro, tenendo conto del potenziale ruolo/uso di questo medicinale nel contesto del proprio Sistema Sanitario Nazionale.

Bibliografia

1. EMA. First paediatric medicine to treat rare hormonal disorder. CHMP gives positive opinion to Alkindi for paediatric-use marketing authorization. [EMA/822961/2017, 15 December 2017.](#)
2. Bornstein SR, Allolio B, Arlt W, et al. Diagnosis and treatment of primary adrenal insufficiency: an Endocrine Society clinical practice guideline. *J Clin Endocrinol Metab* [2016, 101: 364-89.](#)
3. Barillas JE, Eichner D, Van Wagoner R, Speiser PW. Iatrogenic Cushing syndrome in a child with congenital adrenal hyperplasia: erroneous compounding of hydrocortisone. *J Clin Endocrinol Metab* [2018, 103: 7-11.](#)



Commissione Farmaci AME

Agostino Paoletta (Coordinatore) (scandiffio@libero.it)
Enrica Ciccarelli, Alfonso Massimiliano Ferrara, Angelo Gasparre,
Vincenzo Novizio, Barbara Pirali, Agostino Specchio