

3° CONGRESSO NAZIONALE
“Associazione Sindrome Nefrosica Italia”
ASNIT ONLUS

**Studio multicentrico sull'impiego del
cortisone nella fase di esordio**

A. Pasini



DONA UN SORRISO PER I PICCOLI MALATI DI RENE

il sogno di stefano



Premesse

- La sindrome nefrosica idiopatica (SNI) è una malattia rara, con una incidenza di 2-7 casi/anno/100.000 soggetti di età 0-14 anni
- La terapia con corticosteroidi è in grado di indurre la remissione nel 95% dei bambini con esordio di SNI
- Circa il 75% presenterà almeno una recidiva e di questi il 50% avrà frequenti recidive o corticodipendenza

Impiego del cortisone nella fase d'esordio

Uno schema terapeutico adeguato

1. dovrebbe permettere il massimo risparmio di cortisone, mantenendo allo stesso tempo un buon effetto protettivo sulle ricadute
2. Dovrebbe essere se possibile modulato in base ad indicatori prognostici

1- Schemi terapeutici primo episodio di SNI

- **ISKDC regime (1966)**

Prednisone: 60 mg/m²/die (max 80 mg/die) per 4 settimane
40 mg/m²/3 gg a settimana per 4 settimane

Tot. **2160** mg/m²
8 settimane

- **Arbeitsgemeinschaft für pädiatrische nephrologie (APN) 1999**

Prednisone 60mg/m²/die (max 80 mg/die) per 6 settimane
40mg/m²/48 h per 6 settimane

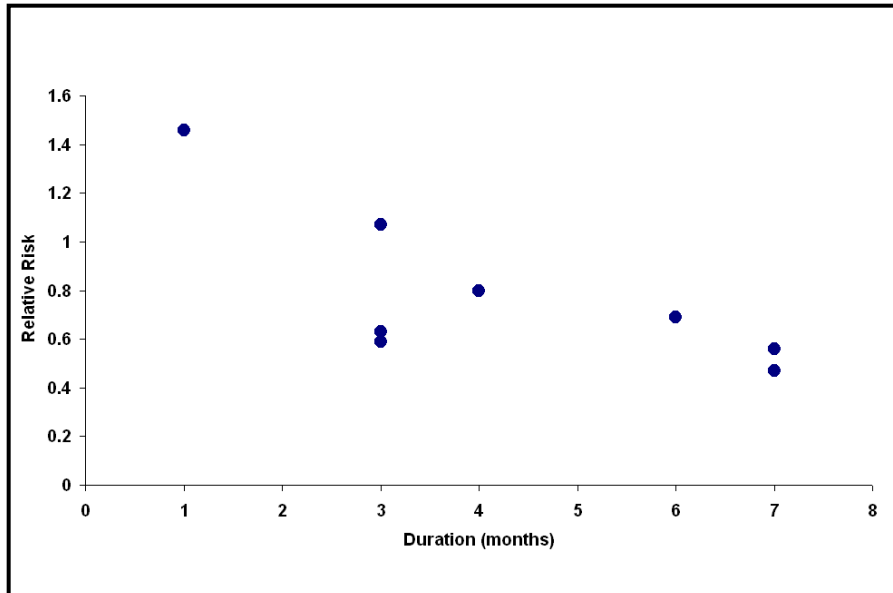
Tot. **3360** mg/m²
12 settimane

- **Società de Nephrologie Pediatrica 2005**

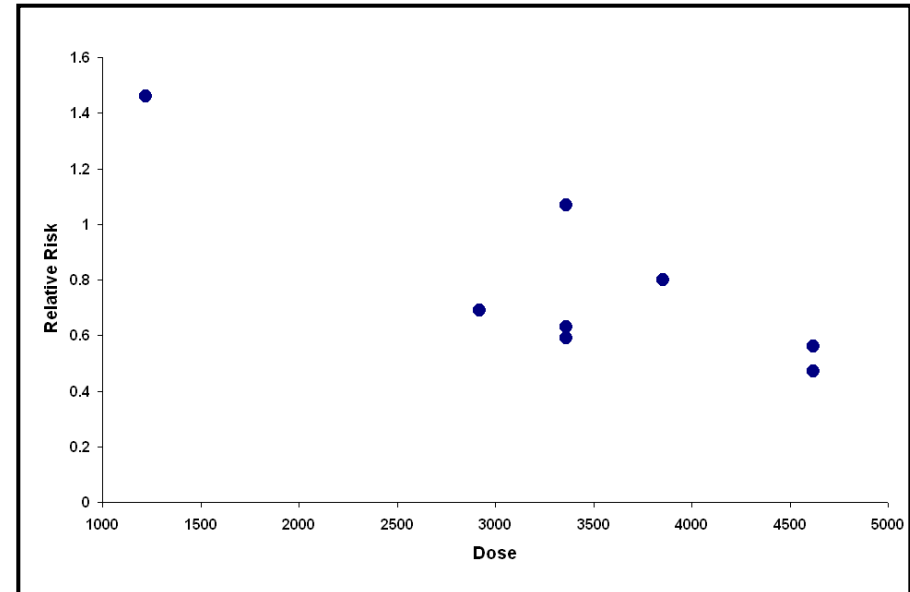
Prednisone 60mg/m²/die (max 60mg/die) per 4 settimane
60mg/m²/48 h per 8 settimane
45mg/m²/48 h per 2 settimane
30mg/m²/48 h per 2 settimane
15mg/m²/48 h per 2 settimane

Tot. **3990** mg/m²
18 settimane

Corticosteroid therapy for nephrotic syndrome in children



Durata terapia



Dose totale

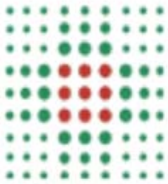
- In Italia, a tutt'oggi non esistono linee guida o raccomandazioni condivise sul trattamento del primo episodio di SNI
- La terapia dell'esordio viene eseguita in strutture pediatriche, spesso da pediatri non nefrologi

Reti regionali di pediatri con interesse nefrologico



- Lombardia
- Emilia Romagna
- Toscana

- scambiare e condividere informazioni sulle patologie renali
- adottare protocolli comuni su alcune patologie nefrologiche
- ottenere Fondi Regionali per progetti

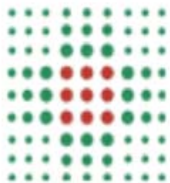


DONNA UN SORRISO PER I PICCOLI MALATI DI RENE
il sogno di stefano

STUDIO OSSERVAZIONALE RETROSPETTIVO SULLA TERAPIA CON PREDNISONONE DELLA SINDROME NEFROSICA IDIOPATICA (SNI) IN ETA' PEDIATRICA IN EMILIA ROMAGNA: APPROPRIATEZZA TERAPEUTICA ED EFFETTI A MEDIO TERMINE.

A.Pasini, A.Crisafi, F.Mencarelli, C.La Scola, F.Pugliese, A.Dozza,
A.Ammenti, M.Piepoli, C.Ruberto, A.Simoni, A.Guerra, A.Corsini, L.Serra,
A.Zucchini, L.Casadio, V.Venturoli, M.Pasini, G.Vergine, G.Montini.

U.O.S.di Nefrologia e Dialisi Pediatrica. Azienda Ospedaliero-Universitaria di Bologna.
Reparti di Pediatria di Bologna, Parma, Piacenza, Reggio-Emilia, Carpi, Modena,
Bentivoglio, Imola, Faenza, Ravenna, Forlì, Cesena, Rimini.

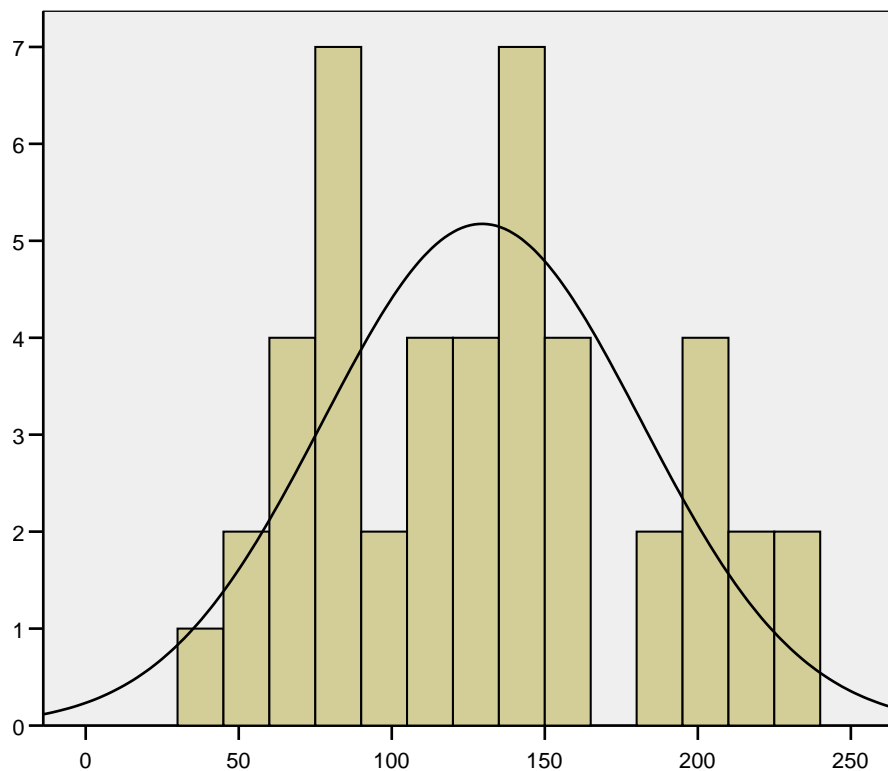


STUDIO OSSERVAZIONALE RETROSPETTIVO SULLA TERAPIA
CON PREDNISONE DELLA SINDROME NEFROSICA IDIOPATICA (SNI)
IN ETA' PEDIATRICA IN UNA REGIONE ITALIANA:
APPROPRIATEZZA TERAPEUTICA ED EFFETTI A MEDIO TERMINE.

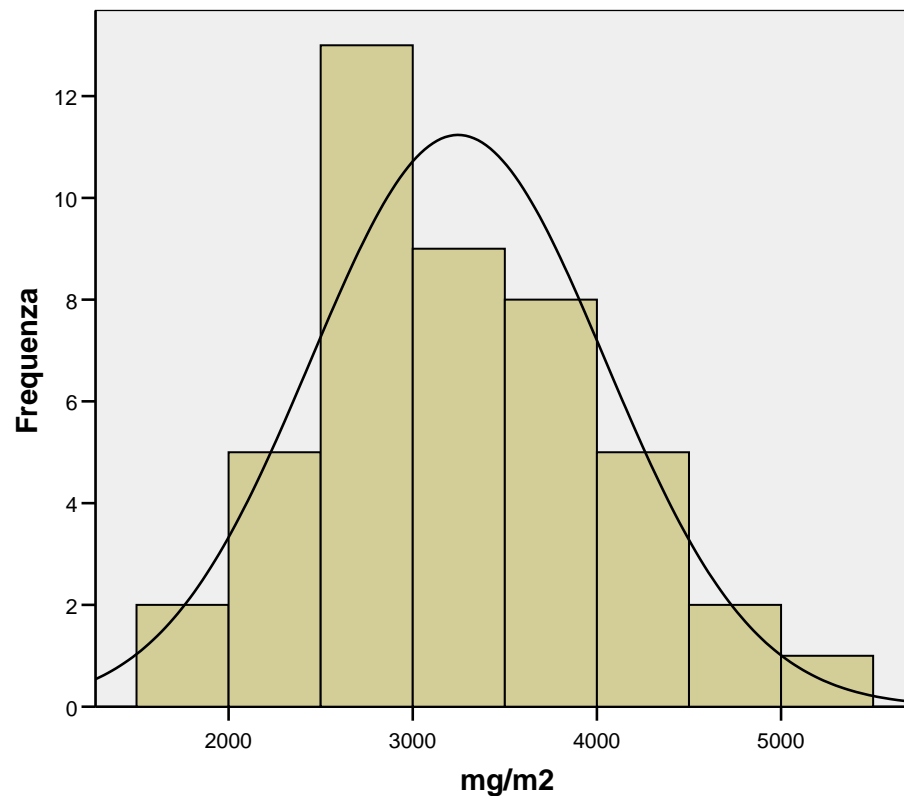


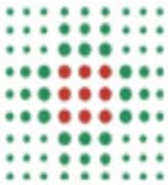
DOTTA UN SORRISO PER I PICCOLI MALATI DI RENE
il sogno di stefano

Durata Totale PDN Primo Episodio



Dose Totale PDN Primo Episodio





Indicatori prognostici di recidiva

- A. I pz sottoposti a **dosi di PDN <2800mg/m²** hanno mostrato una maggiore probabilità di recidiva

- B. I pz che hanno **risposto al PDN <10gg** hanno mostrato invece una minore probabilità di recidiva

“Studio di coorte prospettico sulla terapia con prednisone del primo episodio di Sindrome Nefrosica Idiopatica (SNI) in età pediatrica”

Regioni partecipanti allo studio

- Lombardia*
- Emilia Romagna*
- Toscana*
- Marche*
- Trentino Alto Adige*
- Friuli Venezia Giulia*
- Sicilia (Palermo, Messina)*



OBIETTIVI PRIMARI

Verificare se l'implementazione di un protocollo comune comporti:

- A** riduzione della frequenza di recidive
- B** riduzione della dose totale di steroide utilizzato nei successivi 24 mesi di follow-up

Confronto con la coorte retrospettiva di pazienti

OBIETTIVI SECONDARI

1. Verificare l'impatto dell'implementazione di un protocollo comune sui costi sanitari e sociali della malattia
2. Verificare l'entità delle modificazioni comportamentali e della qualità di vita nei soggetti con SNI dopo trattamento con steroidi
3. Verificare il numero dei pazienti cortico-resistenti dopo il primo trattamento steroideo.

Popolazione dello studio

- Soggetti di età ≥ 6 mesi e <18 anni
- Esordio di SNI diagnosticato in uno dei Centri partecipanti allo studio.
- Periodo di arruolamento: sett. 2011 - sett. 2013
- Follow-up per ulteriori 24 mesi dallo stop terapia

Caratteristiche del protocollo condiviso del trattamento dell'esordio di SNI

1. durata prolungata della terapia (20-22 sett.)
2. dosaggio totale di corticosteroidi contenuto.
(2828 – 3668 mg/ m²)
1. modulazione della durata della terapia steroidea in base al tempo di risposta.
(\leq o $>$ 10giorni)

Schema della terapia d'induzione all'esordio

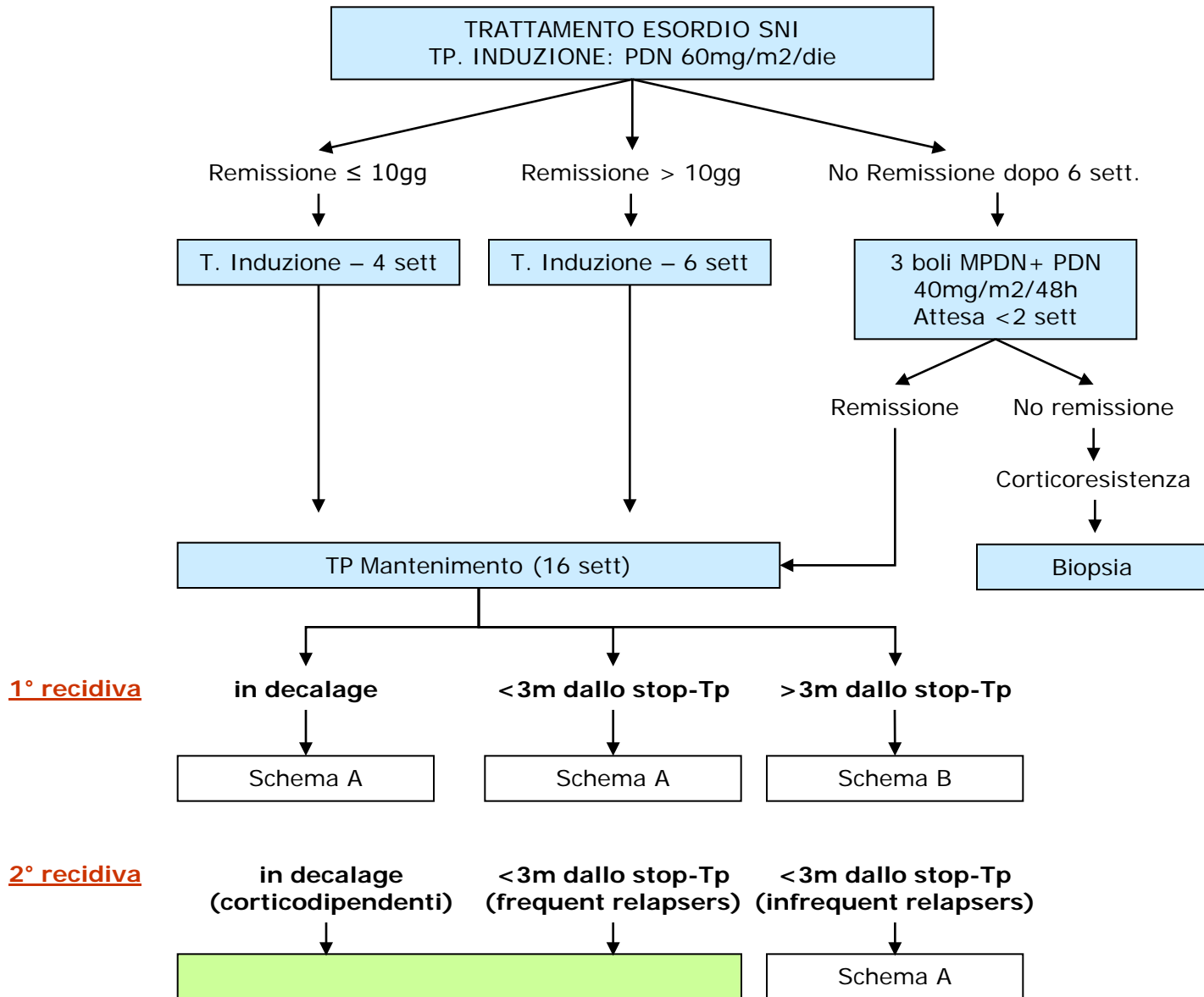
Prednisone 60mg/m ² /die in due somministrazioni giornaliere (max 60mg)	
Remissione <u>≤ 10 giorni</u>	Terapia d'induzione fino al 28° giorno (4 settimane)
Remissione <u>> 10 giorni</u>	Terapia d'induzione fino al 42° giorno (6 settimane)
No remissione < 42° giorno	3 boli di metilprednisolone (1gr/1.73 m ² , max 1gr) ogni 48 ore, prednisone 40mg/m ² /48ore per 2 settimane

Schema di decalage della terapia

prednisone	40 mg/ m ²	al mattino ogni 48 ore	per 4 settimane
"	30 mg/ m ²	al mattino ogni 48 ore	per 2 settimane
"	22.5 mg/ m ²	al mattino ogni 48 ore	per 2 settimane
"	15 mg/ m ²	al mattino ogni 48 ore	per 2 settimane
"	7.5 mg/ m ²	al mattino ogni 48 ore	per 2 settimane
"	4.5 mg/ m ²	al mattino ogni 48 ore	per 4 settimane
sospensione	/	/	Totale 16 sett

La dose totale di prednisone assunta dai pazienti sarà:

- **2828 mg/ m²** nei soggetti che rispondono ≤ 10 giorni di terapia,
- **3668mg/ m²** nei soggetti che rispondono > 10 giorni di terapia.



Accertamenti, terapia e follow-up

	induzione				decalage	Follow-up			
	esordio	Remissione (variabile)	4° Sett.	6° Sett.	20° -22° Sett.	6° mese	12° mese	18° mese	24° mese
Visita clinica	●	●***	●		●	●	●	●	●
Esami di laboratorio	●		●		● solo urine				●
questionari comportamentali	●		●*	●**		●	●		●
Rx carpo	●						●		●

* Compilazione alla 4° .sett. nei soggetti che faranno una terapia d'induzione di 4 settimane

** Compilazione alla 6° sett. nei soggetti che faranno una terapia d'induzione di 6 settimane

*** Valutata sulla scorta di 3 stick urine negativi o tracce in giorni successivi

Studio farmacodinamica

- **Valutazione della corticosensibilità individuale (in vitro) nei soggetti con SNI.**
- L'azione degli steroidi non è sempre dose correlata ma può dipendere da una condizione di ipersensibilità o corticoresistenza costituzionale
- prelievo ematico prima dell'inizio della terapia steroidea ed alla 4° settimana di terapia
- Dose di cortisone necessaria ad inattivare il 50% della proliferazione cellulare valutata su cellule mononucleate da sangue periferico.

Questionari comportamentali e sulla qualità della vita

Età del paziente	Genitori	Pazienti
1,5 - 2 anni	- ASEBA CBCL 1,5 – 5 anni - EQ-5D-PROXY	
2 -4 anni	- ASEBA CBCL 1,5 – 5 anni - EQ-5D-PROXY - PEDSQL2 - 4	
5 - 6 anni	- ASEBA CBCL 1,5 – 5 anni - EQ-5D-PROXY - PEDSQL 5 – 7	- PEDSQL 5 – 7
6 - 7 anni	- ASEBA CBCL 6 – 18 anni - EQ-5D-PROXY - PEDSQL 5 – 7	- PEDSQL 5 – 7
8 - 11 anni	- ASEBA CBCL 6 – 18 anni - EQ-5D-PROXY - PEDSQL 8 -12	- EQ-5D-Y - PEDSQL 8 – 12
11 -12 anni	- ASEBA CBCL 6 – 18 anni - EQ-5D-PROXY - PEDSQL 8 -12	- ASEBA YSR 11-18 - EQ-5D-Y - PEDSQL 8 – 12
13 -18 anni	- ASEBA CBCL 6 – 18 anni - EQ-5D-PROXY - PEDSQL 13 – 18	- ASEBA YSR 11-18 - EQ-5D-Y - PEDSQL 13 – 18



Da compilare all'esordio, alla 4° -6° settimana,
al 6° -12° -24° mese di follow-up

QUESTIONARIO BAMBINI
PedsQL™ Qualità di vita pediatrica Versione 4.0
CODICE PAZIENTE: _____

VERSIONE PER IL BAMBINO/LA BAMBINA (5-7 anni)

Istruzioni per l'intervistatore:
Sto per farti alcune domande su delle cose che potrebbero essere un problema per alcuni bambini. Vorrei sapere quanto quello che ti dico potrebbe essere un problema per te.

Mostrai al bambino/alla bambina il foglio con le faccine e indichi le risposte mentre legge.

Se quello che ti dico non è mai un problema per te, indica la faccina sorridente

Se quello che ti dico è qualche volta un problema per te, indica la faccina al centro

Se quello che ti dico è quasi sempre un problema per te, indica la faccina triste

Leggerò ogni domanda. Indica le faccine per mostrarmi quanto quello che ti dico è un problema per te. Prima facciamo una prova.

	Mai	Qualche volta	Quasi sempre
E difficile per te schioccare le dita	😊	😐	😞

Chiedi al bambino/alla bambina di schioccare le dita per capire se abbia risposto correttamente o meno alla domanda. Ripeta la domanda, nel caso in cui il bambino/la bambina dia una risposta diversa rispetto a quello che fa.
Pensa a come sei stato/a in queste ultime settimane.

Dopo aver letto la domanda, indichi il foglio con le faccine. Se il bambino/la bambina esita o sembra non aver capito come rispondere, leggi le possibilità di risposta, mentre indica le faccine.

SALUTE E ATTIVITÀ FISICHE	Mai	Qualche volta	Quasi sempre
1. E difficile per te camminare?	0	2	4
2. E difficile per te correre?	0	2	4
3. E difficile per te fare sport o giocare?	0	2	4
4. E difficile per te sollevare cose grandi?	0	2	4
5. E difficile per te fare il bagno o la doccia?	0	2	4
6. E difficile per te fare lavoretti di casa (come raccogliere i tuoi giocattoli)?	0	2	4
7. Sentì male o dolore? (Dove?.....)	0	2	4



Sei qui: Home

- ▣ Home
- ▣ Progetti
- ▣ Centri Coordinatori Regionali
- ▣ Laboratorio Farmacogenetica
- ▣ Links

Con il sostegno di:



Benvenuti in nefrokid!

Il sito www.nefrokid.it nasce dalla volontà di promuovere e diffondere alcuni studi su malattie renali del bambino.

La premessa per la realizzazione di questi progetti è stata la creazione di alcune reti di Pediatri con interesse nefrologico, che lavorano in strutture ospedaliere ed universitarie, appartenenti a diverse regioni italiane (Emilia Romagna, Lombardia, Toscana, Marche, Trentino, Friuli Venezia Giulia, Sicilia) coordinate dalle strutture nefrologiche pediatriche regionali.



Abbiamo la viva speranza di allargare ulteriormente il numero di regioni e ospedali coinvolti negli studi.

Studio Sindrome Nefrosica Idiopatica

Benvenuto **ninni** [esci](#)

 Pazienti  Amministrazione

STUDIO PROSPETTICO

 Nuovo paziente  Cerca paziente  Tutti i pazienti  Questionari psicologici

Inserisci un nuovo paziente

I campi contrassegnati con * sono obbligatori


Dati anagrafici

*Sesso: *Data di nascita (gg/mm/aaaa): Peso alla nascita (Kg): Età gestazionale (ww+dd):

M F 

Regione di provenienza: Altezza padre [m]: Altezza madre [m]: Età ossea:

*Centro:



*Etnia

Caucasica Asiatica Afroamericana Ispanica Araba

*Data d'esordio della s.nefrosica:

Età d'esordio:



Dati clinici alla diagnosi

*Altezza [m]: *Peso [Kg]: *Superficie corporea: PA sistolica [mmHg]: PA diastolica [mmHg]: BMI:

L-MI-4**Schema terapia cortisonica**

Farmaco	Dose	Modalità	Giorni
prednisone	42.5 mg/die	in due somministrazioni giornaliere fino alla remissione, a seguire una somministrazione al mattino	dal 06/09/2011 al 03/10/2011
prednisone	27.5 mg	una somministrazione al mattino ogni 48 ore	dal 04/10/2011 al 31/10/2011
prednisone	20 mg	una somministrazione al mattino ogni 48 ore	dal 01/11/2011 al 14/11/2011
prednisone	15 mg	una somministrazione al mattino ogni 48 ore	dal 15/11/2011 al 28/11/2011
prednisone	10 mg	una somministrazione al mattino ogni 48 ore	dal 29/11/2011 al 12/12/2011
prednisone	5 mg	una somministrazione al mattino ogni 48 ore	dal 13/12/2011 al 26/12/2011
prednisone	2.5 mg	una somministrazione al mattino ogni 48 ore	dal 27/12/2011 al 23/01/2012

Dose totale induzione prevista: 1680 mg/m²**Dose totale mantenimento prevista: 1148 mg/m²****Durata totale prevista: 140 giorni**

diario



di

FR RETE
regionale
Sindrome Nefrosica Idiopatica

Sindrome Nefrosica Idiopatica

QUAL E' LA TERAPIA UTILIZZATA PER IL TRATTAMENTO DI QUESTA MALATTIA?

Il farmaco di scelta per la SN è il cortisone. Nella fase acuta della malattia tale farmaco viene somministrato ad alto dosaggio tutti i giorni (eventualmente in due dosi giornaliere). Successivamente, scomparsa la perdita di proteine nelle urine, la dose viene gradualmente scalata fino alla sospensione della terapia.

La durata totale del trattamento, se non subentrano recidive, è di circa 5 mesi. Il 90% dei bambini risponde alla terapia cortisonica entro 8 settimane dall'esordio della malattia. Il cortisone è un farmaco maneggevole, che solitamente viene somministrato senza problemi anche ai bambini più piccoli. E' importante che la somministrazione venga effettuata dopo o durante i pasti per ridurre gli effetti collaterali gastrointestinali.

Va segnalato che le compresse di cortisone hanno un gusto molto amaro: per farle risultare meno sgradevoli e facilitarne l'assunzione, si consiglia di offrire al bambino, dopo la compressa, alcune gocce di sciroppo al gusto lampone (a altri frutti), il cui aroma è risultato, seco mamme, in grado di mascherare efficacemente il s

QUALI SONO GLI EFFETTI COLLATERALI DELLA TERAPIA CORTISONICA?

Gli effetti collaterali causati dalla terapia cortisonica si manifestano quando il trattamento viene effettuato per periodi prolungati e a dosaggio elevato,

COSA PUO' MANGIARE IL BAMBINO?

Anche al ritorno a casa dopo la dimissione sarà opportuno seguire alcune norme dietetiche generali. In primo luogo, la dieta di vostro figlio dovrà essere IPOSODICA, cioè a basso contenuto di sale. Dal momento che gli alimenti contengono naturalmente un quantitativo di sodio e che molti dei prodotti provenienti dal commercio sono già addizionati di sale per la loro preparazione o conservazione (es. insaccati, formaggi, snack salati, patatine...), sarà necessario evitare, o quanto meno limitare l'assunzione di tali alimenti e inoltre ridurre al minimo l'aggiunta di sale (per esempio nell'acqua della pasta, sui piatti in tavola...), preferendo l'utilizzo di spezie ed aromi per insaporire i cibi. Attualmente esistono in commercio prodotti iposodici quali grissini, crackers, fette biscottate. Ricordate infine i nomi di alcuni ingredienti che indicano la presenza del sale (sodio, NaCl, cloruro di sodio, bicarbonato di sodio, fosfato monosodico, glutammato monosodico), e cercate di evitare i prodotti che lo contengono in grandi quantità, cioè quelli nei quali il sale compare ai primi posti nella lista degli ingredienti.

In generale, la dieta di vostro/a figlio/a dovrà essere NORMOCALORICA, cioè dovrà fornire un apporto di energia adeguato alla sua età: non si tratta infatti di una dieta dimagrante! Dal momento che tra gli effetti della terapia cortisonica che vostro figlio assume c'è un aumento dell'appetito ed una tendenza all'aumento di peso, sarà utile limitare l'assunzione di cibi ad alto contenuto calorico e aiutarlo a controllare la fame con alimenti sazianti ma poveri di grassi e di calorie, quali FRUTTA, VERDURA e CARNE.

Gennaio

Giorno	Peso	Dose Prednisone	Stick/Proteinuria e creatinuria	Diuresi	Eventi /note
1					
2					
3					
4					
5					
6					
7					
8					
9					
10					
11					
12					
13					
14					
15					



grazie dell'attenzione!!