

Documento PTR n. 118 relativo a:

**Moduli regionali di richiesta
per il trattamento con Somatropina (Nota AIFA 39)**

- **soggetti in età evolutiva (0 – 18 anni di età)
aventi bassa statura e normale secrezione di GH**
- **relativa scheda di follow up**

redatti dalla Commissione Regionale GH

*Agg. Giugno 2018
Agg. Aprile 2017
Agg. Giugno 2013
Ottobre 2010*



Alia Commissione Regionale GH: richiesta di trattamento a carico del SSN per i soggetti in età evolutiva (0 – 18 anni di età) aventi bassa statura e normale secrezione di GH residenti nella Regione Emilia-Romagna

Ospedale/Università di _____

Centro autorizzato _____

Indirizzo _____

Telefono _____ e-mail _____

Medico richiedente: Prof./Dott. _____

Cartella clinica del/della paziente _____ Iniziali del nome e cognome _____

AUSL Residenza _____

Diagnosi/Orientamento diagnostico _____

Data di nascita: _____ Anni/Mesi: _____ Sesso: M F

Peso alla nascita: _____ Lunghezza alla nascita: _____ età gestazionale: _____

Ordine di genitura: _____

Statura madre: cm _____ SDS _____ Statura padre: cm _____ SDS _____

Dati anamnestici familiari di ritardo puberale _____

Target genetico: _____

Caratteristiche auxologiche* e sviluppo puberale

- statura in piedi (cm) _____ (SDS _____) statura da seduto (cm) _____
- peso (kg) _____
- BMI (kg/m²) _____ (percentile _____)
- peluria pubica _____ (secondo Tanner)
- sviluppo mammario _____ (secondo Tanner)
- volume testicolare (ml) _____

Velocità di crescita staturale nell'ultimo anno: cm _____ (Percentili _____ SDS _____)

*Si consiglia l'utilizzo delle curve auxologiche di Cacciari et al. "Italian cross-sectional growth charts for height, weight and BMI (2 to 20 yr)". *J Endocrinol Invest.* 2006 Jul-Aug;29(7):581-93.

RMN ipotalamo/ipofisi _____

Valutazione età ossea:

- metodo di Greulich Pyle _____
- metodo Tanner-Whitehouse _____

Dosaggio GH dopo stimolo con *(indicare le unità di misura)*:

1. _____ base _____
picco _____
2. _____ base _____
picco _____
3. altro _____

Dosaggio basale IGF-1: _____ ev. dopo test di generazione con rhGH: _____
(indicare U. di misura) (indicare U. di misura)

Eventuali indagini citogenetiche: _____

(Cariotipo obbligatorio per femmina con bassa statura idiopatica)

Epicrisi: _____

Evidenziare i punti essenziali per i quali viene ritenuto opportuno sottoporre alla Commissione Regionale la richiesta di trattamento a favore di soggetto in età evolutiva con bassa statura e normale secrezione di GH, indicando i criteri di eleggibilità che risultano soddisfatti:

Condizione clinica BASSA STATURA IDIOPATICA

Criteri di eleggibilità:

- statura $\leq -2,5$ SDS
- peso e lunghezza alla nascita $\geq 3^\circ$ centile
- proporzioni corporee normali ($\leq 55,5\%$)
- età ossea ≤ 1 anno
- statura corretta per età ossea \leq target
- velocità di crescita $\leq 10^\circ$ centile
- età cronologica ≤ 9 anni per le femmine e i maschi.

Condizione clinica DISPLASIE SCHELETRICHE/SINDROMI GENETICHE

Criteri di eleggibilità:

- Statura < -3 SDS
- Velocità di crescita $< 10^\circ$ centile
- Età d'inizio: prepubertà.

Trattamento consigliato per i primi 6-12 mesi:

- nome commerciale** _____
- dosaggio giornaliero rhGH _____
- numero somministrazioni settimanali _____

***In assenza di particolari situazioni cliniche, utilizzare il farmaco a prezzo più conveniente nel rispetto degli esiti della gara regionale.*

Data della richiesta _____

Firma _____

Si allegano:

1. curva di crescita
2. riferimenti bibliografici
3. consenso informato (se necessario)

Note

- Se dopo 6 mesi di trattamento con rhGH la velocità di crescita staturale/anno dovesse risultare insoddisfacente, la dose di rhGH può essere incrementata fino ad un massimo di 0,035 mg/kg/die o 1 mg/m²/die. Ulteriori incrementi di dosaggio, essendo off label, richiedono il consenso informato e devono essere autorizzati a fronte di circostanziate motivazioni.
- Se la velocità di crescita staturale nel primo anno di terapia raggiungerà il 50° centile per il grado di maturazione ossea raggiunto o risulterà maggiore di 3 cm rispetto al pre-trattamento, la terapia può essere proseguita in attesa del parere della Commissione Regionale per l'appropriatezza dell'ormone della crescita. Il Centro prescrittore, ogni 6 mesi, dovrà inviare la scheda di follow-up alla Commissione Regionale.
- Nel 2° anno di terapia con GH la velocità di crescita deve risultare superiore al 25° centile, preferibilmente in rapporto all'età ossea del soggetto trattato e al grado di maturazione puberale raggiunto. Terminato il 2° anno di terapia è necessaria una rivalutazione completa del caso.
- La terapia andrà sospesa al raggiungimento di una età ossea di 14 anni nella femmina e 16 anni nel maschio o quando la velocità di crescita staturale è inferiore ai 2 cm/anno (calcolata in un intervallo di tempo di 6 mesi). La terapia con GH andrà inoltre ridotta o sospesa se si rilevano elevati livelli plasmatici di IGF-1 (> 2 SDS per l'età).

Riferimenti bibliografici

- Growth Hormone Research Society. Consensus guidelines for the diagnosis and treatment of growth hormone (GH) deficiency in childhood and adolescence: summary statement of the GH Research Society. *J Clin Endocrinol Metab.* 2000; 85 (11): 3990-3993.
- Human growth hormone for the treatment growth failure in children (review), National Institute of Clinical Excellence (NICE), Maggio 2002 (<http://www.nice.org.uk>)
- Tanaka T, Cohen P, Clayton PE, Laron Z, Hintz RL, Sizonenko PC. Diagnosis and management of growth hormone deficiency in childhood and adolescence--part 2: growth hormone treatment in growth hormone deficient children. *Growth Horm IGF Res* 2002;12:323-41.
- Pricci F, Agazio E, Villa M. Trattamento con l'ormone somatotropo in Italia: Rapporto annuale del Registro Nazionale degli Assuntori dell'Ormone della Crescita (2014). Roma: ISS; 2015 (Rapporti ISTISAN 15/31 pag 7-17).

SCHEDA FOLLOW-UP PER SOGGETTI AVENTI BASSA STATURA E NORMALE SECREZIONE DI GH TRATTATI A CARICO DEL SSN

Centro di riferimento: _____

Referente: Prof./Dott. _____

Iniziali Nome Cognome paziente _____ Sesso M F Data di nascita _____

Data autorizzazione al trattamento _____

	pre trattamento	6 mesi	12 mesi	18 mesi	24 mesi
Data visita					
Età cronologica paziente					
Firma del Medico					
Risultati della terapia con rhGH					
▪ peso (kg)					
▪ statura in piedi (cm)					
▪ SDS					
▪ statura da seduto (cm)					
▪ percentuale (%)					
▪ BMI (/kg/m ²)					
▪ peluria pubica (secondo Tanner)					
▪ sviluppo mammario (secondo Tanner) - età menarca					
▪ volume testicolare (ml)					
▪ velocità di crescita (cm)					
▪ SDS					
valutazione ossea (anni/mesi)					
▪ IGF - 1					
Altre terapie in corso					
In terapia con rhGH					
▪ nome commerciale					
▪ dosaggio pro chilo giornaliero					
▪ n. somministrazioni settimanali					
Eventuali effetti collaterali secondari alla terapia con rhGH ¹					

Si allega curva di crescita con indicazione del target genetico.

¹In caso si verificano effetti collaterali, allegare la scheda di reazione avversa (ADR)