Pregledni znanstveni članek /
Review article

Pasti v omarici z zdravili: vloga farmacevta pri zdravljenju otrok s kronično ledvično boleznijo in z redko boleznijo s prizadetostjo ledvic

Pitfalls in the medicine cabinet: the pharmacist's role in the treatment of children with chronic kidney disease and rare diseases with kidney involvement

Tomislav Laptoš, Matjaž Kopač,
Tanja Kersnik Levart

Izvleček

Otroci s kronično ledvično boleznijo (KLB) in z redko boleznijo s prizadetostjo ledvic so majhna, a terapevtsko zahtevna skupina bolnikov, pri kateri je uspeh zdravljenja tesno povezan z izvedljivostjo terapije doma, v šoli in ob obrokih. Za številna zdravila, ki jih uporabljamo kot podporno terapijo, ni na voljo za otroke primernih registriranih farmacevtskih oblik in jakosti. Zato je pogosto potrebna magistralna priprava, ki je za nekatera zdravila dostopna le v bolnišnični lekarni. Dodatni izziv so motnje v preskrbi, razvrščanje zdravil na liste ZZZS in usklajevanje terapije ob prehodih med stopnjami bolezni in ravnmi zdravstvene obravnave. Za varno jemanje zdravil v različnih okoljih je pomembna priprava Osebne kartice zdravil in njeno sprotno posodabljanje. Pri specifičnem zdravljenju redkih bolezni s prizadetostjo ledvic, kot so npr. zaviralci komplementa, zdravila na osnovi siRNA in cisteamin, so poleg visoke cene in zapletene poti do slovenskega trga pomembna tudi varnostna opozorila, kot npr. opozorilo na cepljenje pred uvedbo inhibitorjev komplementa. Vključitev farmacevta v multidisciplinarni tim pomembno prispeva k preprečevanju napak, boljši adherenci in postopnemu prehodu mladostnika k samostojnemu upravljanju terapije.

Ključne besede: kronična ledvična bolezen, otrok, farmacevtske storitve, magistralna zdravila, adherenca, zaviralci komplementa, redke bolezni.

Abstract

Children with chronic kidney disease (CKD) and rare diseases with kidney involvement form a small but therapeutically demanding group of patients, in whom treatment success is closely linked to the feasibility of therapy at home, at school and at mealtimes. Many supportive medicines are not available in authorized formulations and strengths suitable for children, so extemporaneous preparation is often required, and for some medicines it is available only in a hospital pharmacy. Further challenges include supply disruptions, reimbursement listing by the Health Insurance Institute of Slovenia, and medication reconciliation at transitions between disease stages and levels of care. To ensure safe medication administration in different settings, preparing and regularly updating a Personal medication card is important. In the specific treatment of rare diseases with kidney involvement, such as complement inhibitors, siRNA-based medicines and cysteamine, high prices and a difficult journey to the Slovenian market are accompanied by important safety warnings, e.g., vaccination before initiating complement inhibitors. Integrating the pharmacist into the multidisciplinary team significantly contributes to preventing errors, improving adherence, and supporting the gradual transition of adolescents to self-management of their therapy.

Key words: Chronic kidney disease; child; pharmaceutical services; drug compounding; adherence; complement inactivating agents; rare diseases.

Uvod

Otroci s kronično ledvično boleznijo (KLB) in redko boleznijo s prizadetostjo ledvic so majhna, a terapevtsko zelo zahtevna skupina bolnikov. Število zdravil, ki jih otrok potrebuje, z napredovanjem bolezni narašča – od npr. zaviralcev sistema renin-angiotenzin-aldosteron (RAAS) in drugih antihipertenzivov v zgodnjih stopnjah bolezni do fosfatnih vezalcev, različnih oblik vitamina D, natrijevega hidrogenkarbonata, zdravil za zdravljenje anemije in imunosupresivov pri dializi in po presaditvi ledvice (1). Pri imunsko pogojenih boleznih ledvic se že pred napredovanjem KLB podpornemu zdravljenju pridružuje še cela paleta zdravil, ki negativno vplivajo na imunski sistem, pri nekaterih redkih boleznih s prizadetostjo ledvic pa še zelo specifična zdravila, ki delujejo na različnih ravneh, so pogosto zelo draga in terjajo zahteven režim uporabe.

Uspeh zdravljenja je pri otroku v veliki meri odvisen od tega, ali je predpisano terapijo mogoče udejanjiti v vsakdanjem življenju – doma, v vrtcu in šoli, ob obrokih in med počitnicami. Za številna zdravila, ki jih uporabljamo pri otrocih s KLB niso na voljo pediatrične farmacevtske oblike ali jakosti, zato jih pogosto uporabljamo nenamensko (angl. *off-label*) ali v obliki magistralnih zdravil. Nenamenska uporaba zdravil je pri otrocih zelo razširjena (3–97 % predpisov) in je povezana z večjim tveganjem za neželene učinke in napake pri odmerjanju (2).

Vloga farmacevta je pri tem pogosto preveč zapostavljena, čeprav je ključni člen med predpisano terapijo in njeno dejansko uporabo. V prispevku predstavljamo najpogostejše »pasti, ki se skrivajo v omarici z zdravili«, s katerimi se srečujemo v Lekarni Univerzitetnega kliničnega centra Ljubljana (UKCL) in na Kliničnem oddelku za nefrologijo UKCL. To so: dostopnost ustreznih farmacevtskih oblik, razvrščanje zdravil na listo, usklajevanje terapije ob prehodih, preverjanje uporabe predpisanega zdravila, specifike jemanja nekaterih zdravil, kot so npr. fosfatni vezalci, jemanje zdravil, ki so pomembno vezana na obroke hrane, jemanje zdravil v vrtcu/šoli in posebnosti specifičnega zdravljenja redkih bolezni s prizadetostjo ledvic.

Preskrba z zdravili za podporno zdravljenje ter posebnosti pri njihovi uporabi

Glede na naše izkušnje je problematika najbolj pereča pri zdravilih za peroralno uporabo, ki jih mora otrok jemati trajno, tudi po zaključku bolnišničnega zdravljenja (3). Gotova zdravila so pogosto na voljo le v obliki tablet ali kapsul v jakostih za odrasle, kar pri majhnih otrocih ter pri otrocih z nazogastrično sondo ali gastrostomo onemogoča natančno odmerjanje, pogosto pa vpliva tudi na to, ali bolnik zdravilo sploh lahko zaužije oz. ga prejme (3).

Na listo zdravil Zavoda za zdravstveno zavarovanje Slovenije (ZZZS) je bilo 4. 10. 2026 razvrščenih 314 magistralnih zdravil, med njimi tudi večina tistih, ki jih uporabljamo pri otrocih s KLB: peroralne suspenzije oz. raztopine antihipertenzivov (enalapril, kaptopril, losartan, amlodipin, nifedipin, atenolol, propranolol, klonidin), diuretikov (furosemid, hidroklorotiazid, spironolakton), natrijevega hidrogenkarbonata, fosfata, imunosupresivov (mofetilmikofenolat, takrolimus) in prednizolona (4). Ta zdravila lahko otrok prejme na recept v breme obveznega zdravstvenega zavarovanja. Žal pa vse lekarne vseh magistralnih zdravil ne izdelujejo, zato je pred odpustom iz bolnišnice smiselno preveriti, ali bo zdravilo na voljo v izbrani lekarni blizu doma.

Zahtevnejša pa je situacija pri zdravilih, ki na listo niso razvrščena kot magistralna zdravila. Med njimi so tudi tekoče oblike zdravil, ki so na trgu na voljo le kot trdne farmacevtske oblike (npr. kalcitriol, fosfatni vezalci) (5). Lekarna UKCL takšna zdravila po potrebi izdela za hospitalizirane bolnike, za nadaljevanje zdravljenja doma pa svetujemo, da predpisovalec in starši pridobijo odobritev ZZZS za pripravo magistralnega zdravila (6). Tega lahko nato izdela tudi lokalna lekarna, kar bolniku bistveno poenostavi preskrbo (3). Kadar magistralna priprava ni mogoča ali ni ustrezna, je pogosto treba izvesti tudi interventni uvoz gotovega zdravila v ustrezni farmacevtski obliki, ki v Sloveniji nima dovoljenja za promet (7).

Na voljo so tudi gotova zdravila z indikacijo za pediatrično populacijo, ki niso vedno razvrščena na listo. Kot primer omenjamo zrnca s podaljšanim sproščanjem kalijevega citrata in kalijevega hidrogenkarbonata za zdravljenje distalne renalne tubulne acidoze (dRTA) pri otrocih od 1. leta starosti, ki so na trgu, a niso razvrščena (5). Pri takih zdravilih lahko poleg imetnika dovoljenja za promet lahko tudi zdravstvena institucija naslovi na ZZZS pobudo za razvrstitev (8). Zdravila, ki v Sloveniji nimajo dovoljenja za promet ali niso prisotna na trgu, je mogoče pridobiti z interventnim uvozom (7), kar pa terja dodaten čas in usklajevanje med predpisovalcem, bolnišnično lekarno in veletrgovcem. Druga možnost je predpis na beli recept, s katerim starši zdravilo kupijo sami v lekarni v tujini, vendar ga morajo tudi sami plačati. Pri nakupu v drugi državi EU lahko bolnik v določenih primerih uveljavlja povračilo pri ZZZS po pravilih čezmejnega zdravstvenega varstva. Ob umikih zdravil s trga in ob motnjah v preskrbi je ključnega pomena pravočasno obveščanstiti predpisovalce in starše ter se dogovoriti o terapevtsko primerljivi zamenjavi (3). Pregled dostopnosti najpogosteje uporabljenih zdravil podporne terapije je prikazan v Tabeli 1.

Med zdravili za podporno terapijo podrobneje omenjamo fosfatne vezalce, pri katerih se težave z ustreznimi farmacevtskimi oblikami, sprejemljivostjo za otroka in nato z adherenco najbolj izrazito prepletajo, njihova učinkovitost pa je neločljivo povezana s prehranjevanjem.

Zdravilo	Gotovo zdravilo	Magistralno zdravilo na listi ZZZS	Opomba
Zaviralci ACE / ARB (enalapril, kaptopril, losartan)	tablete v jakostih za odrasle	da – suspenzije (enalapril 1 mg/ml, kaptopril 1 mg/ml, losartan 2,5 mg/ml)	spremljanje kalija in kreatinina
Kalcijevi antagonisti (amlodipin, nifedipin)	tablete	da – suspenzije (1 mg/ml, 10 mg/ml)	
Diuretiki (furosemid, hidroklorotiazid, spironolakton)	tablete oz. kapsule	da – raztopine oz. suspenzije v več jakostih	
Natrijev hidrogenkarbonat	trde želatinske kapsule 500 mg	da – raztopina 84 mg/ml	vnos natrija, okus
Fosfatni vezalci	kalcijev karbonat (kapsule, tablete), sevelamer (prašek), železov(III) oksihidroksid (žvečljive tablete)	ne	glej Tabelo 2
Kalcitriol, alfakalcidol	mehke kapsule (pozitivna lista z omejitvijo)	ne	ni tekoče oblike (omejitev uvoza)
Cinakalcet	zrnca v kapsulah za odpiranje 1; 2,5; 5 mg (bolnišnično zdravilo)	ne	zdravilo je v postopku ukinjanja
Imunosupresivi (mofetilmikofenolat, takrolimus)	kapsule, tablete; takrolimus tudi kot zrnca za peroralno suspenzijo 0,2 mg in 1 mg (pozitivna lista)	da – suspenziji (100 mg/ml, 0,5 mg/ml)	ozko terapevtsko okno, interakcije
Kalijev citrat + kalijev hidrogenkarbonat	zrnca s podaljšanim sproščanjem (ni razvrščeno)	ne	od 1. leta starosti

TABELA 1: DOSTOPNOST IZBRANIH ZDRAVIL PODPORNE TERAPIJE KLB ZA OTROKE V SLOVENIJI (STANJE 4. 10. 2026) (4, 5).

TABLE 1. AVAILABILITY OF SELECTED MEDICINES FOR SUPPORTIVE TREATMENT OF CKD IN CHILDREN IN SLOVENIA (AS OF 4 OCTOBER 2026) (4, 5).

Fosfatni vezalci so zdravila, pri katerih je adherenca otrok najslabša, saj jih je treba jemati večkrat dnevno, vedno skupaj z obrokom. Osnova obravnave hiperfosfatemije je omejitev vnosa fosfata s prehrano, ki jo po potrebi dopolnjujejo vezalci fosfata (9, 10). Vezalci vežejo fosfat iz hrane v prebavilih, zato jih je treba jemati z obroki; natančna navodila se med pripravki razlikujejo in so navedena le v povzetku glavnih značilnosti posameznega zdravila (5).

V Sloveniji so za otroke na voljo kalcijev karbonat v obliki kapsul in tablet ter sevelamer v obliki praška za peroralno suspenzijo (vrečke po 2,4 g), ki je odobren za otroke od 6. leta starosti. Na listo je razvrščen tudi železov (III) oksihidroksid v obliki žvečljivih tablet, odobren za otroke od 2. leta starosti s KLB stopnje 4–5 ali na dializi, za katerega pa v CBZ ni podatka o prisotnosti na trgu (5). Lantanov karbonat za otroke ni odobren. Izbira vezalca vpliva na okus, volumen in število odmerkov ter s tem na sprejemljivost za otroka (Tabela 2).

Šolska prehrana je pogosto nestrukturirana (malica, kosilo, popoldanski prigrizki), zato je usklajevanje vezalcev z obroki logistično zahtevno. Farmacevt, po potrebi v sodelovanju z dietetikom, pripravi enotna pisna navodila, ki jemanje zdravil povezujejo z obroki in dietnimi omejitvami (fosfat, kalij, natrij, beljakovine), s čimer preprečimo, da bi družina prejemala nasprotujoča si navodila. Pri mladostnikih, ki zaradi želje biti »normalen« opuščajo dieto ali zdravila, je pomemben odkrit pogovor in iskanje rešitev, ki so izvedljive v njihovem vsakdanjiku.

Pasti v domači omarici in usklajevanje terapije ob prehodih

Z napredovanjem KLB se spreminja tudi varnost zdravil, ki jih otrok prejema zaradi drugih bolezni in stanj. Odmerke številnih zdravil je treba prilagoditi oceni glomerulne filtracije. Nefrotoksičnim zdravilom pa se je treba izogibati, kadar je le mogoče (11). Prav v domači omarici se pogosto skrivajo zdravila, ki jih starši dajo otroku brez posveta. Nesteroidna protivnetna zdravila (npr. ibuprofen), ki jih uporabljamo ob vročini ali bolečini, lahko poslabšajo delovanje ledvic, zlasti ob dehidraciji in sočasnem jemanju zaviralcev RAAS ali diuretikov. Prehranska dopolnila in »naravni« pripravki lahko vsebujejo kalij, fosfat ali magnezij, zdravilne rastline (npr. šentjanževka) pa vplivajo na presnovo kalcinevrinskih zaviralcev. Pri napredovali KLB se lahko kopičijo tudi magnezij in aluminij iz antacidov ter fosfat iz odvajal, kot so fosfatne klizme, zato jih pri teh otrocih brez posveta z zdravnikom ali farmacevtom ne uporabljamo. Smernice KDIGO zato pri bolnikih s KLB priporočajo pregled vseh zdravil, vključno z zdravili brez recepta in s prehranskimi dopolnili, ter poučevanje bolnika o možnih tveganjih pri jemanju (11).

Vsak prehod – med stopnjami bolezni, ob začetku dialize, po presaditvi ledvice, ob sprejemu v bolnišnico in ob odpustu – zahteva ponovno uskladitev celotne terapije. Pravilnik o izvajanju storitev lekarniške dejavnosti v

Vezalec	Oblika in razvrstitev	Uporaba pri otrocih	Praktični nasvet
Kalcijev karbonat	kapsule 500 mg, tablete 1 g; pozitivna lista	se uporablja	z obrokom; spremljanje kalcija
Sevelamer	prašek za peroralno suspenzijo 2,4 g, tablete 800 mg; pozitivna lista z omejitvijo	od 6. leta	prašek razpršimo v vodi; ne vsebuje kalcija; z obrokom
Železov(III) oksihidroksid saharozni kompleks	žvečljive tablete 500 mg; pozitivna lista z omejitvijo; ni podatka o prisotnosti na trgu	od 2. leta (KLB 4–5 ali dializa)	z obrokom; tableto prežvečimo; temno obarvanje blata
Lantanov karbonat	žvečljive tablete; pozitivna lista z omejitvijo	ni odobren	–
Kalcijev acetat	tablete; ni razvrščen	–	–

TABELA 2: FOSFATNI VEZALCI, DOSTOPNI V SLOVENIJI, IN NJIHOVA UPORABA PRI OTROCIH (5).

TABLE 2. PHOSPHATE BINDERS AVAILABLE IN SLOVENIA AND THEIR USE IN CHILDREN (5).

bolnišnični lekarni zato predvideva farmacevtsko obravnavo ob sprejemu bolnika, v času obravnave na oddelku in ob zaključku bolnišnične obravnave (12). Pri otrocih po presaditvi ledvice je posebej pomembno prepoznavanje interakcij z imunosupresivi, usklajenost odmerkov s koncentracijami učinkovin v krvi ter natančna edukacija staršev oz. bolnikov samih o vseh vidikih pravilnega in pravočasnega jemanja različnih zdravil, saj ima lahko tudi navidezno nedolžna sprememba, kot je npr. uvedba makrolidnega antibiotika, pomembne klinične posledice.

Zdravila v vrtcu ali šoli in Osebna kartica zdravil

Otrok preživi velik del dneva v vrtcu ali šoli, kjer mora pogosto vzeti odmerek zdravila, npr. fosfatni vezalec ob malici ali natrijev hidrogenkarbonat, ki ga jemlje večkrat dnevno. Otroci na hemodializi zaradi obravnave v dializnem centru pogosto izostajajo od pouka, kar dodatno otežuje rutino jemanja zdravil. Smernice Ameriške akademije za pediatrijo poudarjajo, naj predpisovalec pred predpisom presodi, ali je odmerek v vrtcu/šoli res potreben (npr. z izbiro odmernega intervala, ki omogoča jemanje doma). Starše je treba o vsaki spremembi terapije pravočasno obvestiti, ti pa so dolžni te informacije pravočasno posredovati vrtcu/šoli (13).

V slovenskem prostoru je za prenos informacij o terapiji namenjena Osebna kartica zdravil (OKZ), ki jo pripravi farmacevt in je shranjena v Centralnem registru podatkov o pacientih. Starši do nje dostopajo prek portala ali mobilne aplikacije zVEM, na voljo pa je tudi zdravstvenim delavcem, ki sodelujejo pri zdravljenju (14). Pri otrocih s KLB je zato smiselna izdelava OKZ ob odpustu iz bolnišnice in njena posodobitev ob vsaki spremembi terapije. Natisnjena OKZ je lahko pregleden pripomoček tudi za vrtčevsko/šolsko osebje, saj jasno opredeli, katero zdravilo, v kakšnem odmerku, kdaj in kako naj ga otrok prejme ter na kaj je treba biti pozoren (Tabela 3). Tako lahko prispeva k varnejšemu in bolj organiziranemu jemanju zdravil med varstvom oz. poukom, zlasti ob spremembah terapije.

OKZ je tudi orodje za postopen prehod mladostnika k samostojnemu upravljanju terapije. Mednarodna priporočila za prehod iz pediatrične v odraslo nefrološko obravnavo poudarjajo pomen pravočasnega učenja samostojnosti, ki vključuje poznavanje lastnih zdravil, njihovega namena in pravilnega jemanja (15). Farmacevt naj bi pri tem pomagal s starosti prilagojenim razgovorom o zdravilih in s preverjanjem razumevanja ob vsaki spremembi terapije.

Specifično zdravljenje redkih bolezni s prizadetostjo ledvic

Za nekatere redke bolezni s prizadetostjo ledvic so v zadnjih letih na voljo zdravila, ki ciljajo že na sam mehanizem bolezni (Tabela 4). Večina jih je pridobila dovoljenje za promet po centraliziranem postopku pri Evropski agenciji za

Zdravilo	Zjutraj	Malica (šola)	Kosilo	Večerja	Navodilo
Enalapril 1 mg/ml peroralna suspenzija	2,5 ml	–	–	–	pred uporabo pretresi
Natrijev hidrogenkarbonat 84 mg/ml peroralna raztopina	10 ml	10 ml	–	10 ml	odmerjaj z brizgo
Kalcijev karbonat 500 mg trda kapsula	–	1 kapsula	1 kapsula	1 kapsula	z obrokom; če obroka ni, zdravila ne vzemi
Kalcitriol 0,25 µg mehka kapsula	–	–	–	1 kapsula	

TABELA 3: PRIMER OSEBNE KARTICE ZDRAVIL ZA ŠOLO (BOLNIK JE IZMIŠLJE, ODMERKI PA SO PONAZORITVENI).

Ob vročini ne dajaj ibuprofena; pokliči izbranega pediatra. Kontakt: [telefon ambulante].

TABLE 3. EXAMPLE OF A PERSONAL MEDICATION CARD FOR SCHOOL (FICTITIOUS PATIENT, DOSES ARE ILLUSTRATIVE).

zdravila (EMA), kar pa še ne pomeni, da so v Sloveniji tudi dostopna. Pot do bolnika vodi prek prisotnosti zdravila na trgu ali interventnega uvoza ter razvrstitve na listo ZZZS (7, 8). Cene teh zdravil so praviloma visoke: regulirana cena brez DDV za pakiranje zdravila s pegcetakoplanom (8 vial po 1080 mg) je npr. 24.033,48 EUR, pakiranja zdravila z iptakopanom (56 kapsul po 200 mg) pa npr. 25.419,14 EUR (5). Zato se takšna zdravila razvrščajo z omejitvijo predpisovanja ali na seznam bolnišničnih oz. ambulantnih zdravil, kar vpliva tudi na to, kje in kako otrok zdravilo prejme.

Status posameznih zdravil v Sloveniji se razlikuje:

- **Ekulizumab in ravulizumab** sta odobrena za vse starostne skupine za zdravljenje atipičnega hemolitično-uremičnega sindroma (aHUS) in sta na seznamu bolnišničnih zdravil z omejitvijo predpisovanja (5).
- **Lumasiran** za primarno hiperoksalurijo tipa 1 (PH1) je odobren za vse starostne skupine in je na seznamu ambulantnih zdravil z omejitvijo predpisovanja (5). **Nodasiran** za isto indikacijo v EU ni odobren (5).
- **Pegcetakoplan**, ki je odobren tudi za mladostnike od 12. do 18. leta s C3 glomerulopatijo (C3G) ali primarnim imunokompleksnim membranoproliferativnim glomerulonefritisom, je na pozitivni listi z omejitvijo predpisovanja (5, 16).
- **Iptakopan** je za zdravljenje C3G odobren le pri odraslih, a v Sloveniji ni razvrščen (5).
- Pri nefropatski cistinozi je na pozitivni listi **cisteamin** s takojšnjim sproščanjem, medtem ko oblika s podaljšanim sproščanjem ni razvrščena; **cisteaminijeve kapljice za oko** so razvrščene kot magistralno zdravilo (4, 5), medtem kot komercialno pripravljene kapljice s podaljšanim delovanjem v Sloveniji niso razvrščene (5).
- **Tolvaptan** za avtosomno dominantno policistično bolezen ledvic je odobren le za odrasle (5).
- **Zrnca s podaljšanim sproščanjem kalijevega citrata in kalijevega hidrogenkarbonata** za zdravljenje distalne renalne tubulne acidoze (dRTA) pri otrocih od 1. leta starosti so na trgu, a niso razvrščena (5).
- **Agalzidaza alfa in beta** za zdravljenje Fabryjeve bolezni pri otrocih od 7. oziroma 8. leta starosti sta na seznamu bolnišničnih zdravil z omejitvijo predpisovanja (5).

Najpomembnejša varnostna past pri zaviralcih komplementa je povečano tveganje za okužbe z inkapsuliranimi bakterijami. Pri bolnikih, ki prejemajo ekulizumab, je incidenca invazivne meningokokne bolezni 1000- do 2000-krat večja kot v splošni populaciji, okužbe pa so se pojavile tudi pri cepljenih bolnikih (16). Bolniki morajo biti pred začetkom zdravljenja cepljeni proti meningokokom skupin A, C, W, Y in B, otroci pa tudi proti pnevmokokom in virusu *Haemophilus influenzae* tipa b (5). Če se zdravljenje začne pred vzpostavitvijo zaščite s cepivom, prejmejo antibiotično profilakso (pra-

Bolezen	Zdravilo	Odobritev pri otrocih	Status v Sloveniji	Ključna opozorila
aHUS	ekulizumab, ravulizumab	da (ravulizumab od 10 kg)	seznam bolnišničnih zdravil z omejitvijo	cepljenje, profilaksa, opozorilna kartica
C3G, IC-MPGN	Pegcetakoplan	od 12. do 17. leta	pozitivna lista z omejitvijo	cepljenje, profilaksa, opozorilna kartica
C3G	Iptakopan	ne (samo odrasli)	ni razvrščen	cepljenje, profilaksa, opozorilna kartica
PH1	Lumasiran	vse starosti	seznam ambulantnih zdravil z omejitvijo	aplicira ga zdravstveni delavec
	Nodasiran		ni registriran v EU	
Nefropatska cistinoza	cisteamin s takojšnjim/ podaljšanim sproščanjem;	Da	pozitivna lista / ni razvrščen;	okus, vonj, jemanje na 6 ur
	kapljice za oko		kapljice kot magistralno zdravilo	kapljice, aplikacija na 1 uro
ADPKD	Tolvaptan	ne (samo odrasli)	pozitivna lista z omejitvijo	–
dRTA	kalijev citrat + kalijev hidrogenkarbonat	od 1. leta	ni razvrščen	jemanje 2-krat dnevno
Fabryjeva bolezen	agalzidaza alfa	od 7. leta	seznam bolnišničnih zdravil z omejitvijo	pri mlajših otrocih je pred uporabo potrebna presoja specialista za Fabryjevo bolezen
	agalzidaza beta	od 8. leta		

TABELA 4: SPECIFIČNA ZDRAVILA ZA REDKE BOLEZNI S PRIZADETOSJO LEDVIC PRI OTROCIH IN NJIHOV STATUS V SLOVENIJI (STANJE 4. 10. 2026) (4, 5, 16, 17).

Legenda: aHUS – atipični hemolitično-uremični sindrom; C3G – C3 glomerulopatija; IC-MPGN – primarni imunokompleksni membranoproliferativni glomerulonefritis; PH1 – primarna hiperoksalurija tipa 1; dRTA – distalna renalna tubulna acidoza; ADPKD – avtosomno dominantna policistična bolezen ledvic.

TABLE 4. SPECIFIC MEDICINES FOR RARE DISEASES WITH KIDNEY INVOLVEMENT IN CHILDREN AND THEIR STATUS IN SLOVENIA (AS OF 4 OCTOBER 2026).

viloma s penicilinom), ki jo nekateri centri nadaljujejo ves čas zdravljenja (5, 17). Ker niti cepljenje niti profilaksa ne zagotavljata popolne zaščite, bolnik prejme opozorilno kartico (5), starši pa morajo znati prepoznati znake okužbe in takoj poiskati zdravniško pomoč.

Pri cisteaminu je glavna težava adherenca: neprijeten okus in vonj (zadah, telesni vonj) ter jemanje oblike s takojšnjim sproščanjem na 6 ur, tudi ponoči, kar lahko otežujejo redno jemanje, zlasti pri mladostnikih (5).

Lumasiran, zdravilo na osnovi male interferenčne RNA (siRNA), mora aplicirati zdravstveni delavec. Zato je treba aplikacije v predpisanih intervalih uskladiti s šolskimi obveznostmi (5).

Pri zdravilih, ki jih bolnik prejema prek interventnega uvoza ali povračila stroškov nakupa v tujini, pa je ključnega pomena pravočasno načrtovanje naslednjih pošiljk, da ne pride do prekinitve zdravljenja (3).

Zaključek

Otroci s KLB in redkimi boleznimi ledvic potrebujejo terapijo, ki je prilagojena ne le stopnji bolezni, ampak tudi njihovi starosti, okolju in vsakdanjim obveznostim. Pasti v omarici z zdravili – od odsotnosti ustreznih farmacevtskih oblik, nerazvrščenih zdravil in motenj v preskrbi do zdravil brez recepta, slabe adherence, zlasti pri fosfatnih vezalcih in specifičnih varnostnih tveganj novih zdravil, so pogosto skrite in se pokažejo šele ob zapletu.

Farmacevt lahko s pravočasnim sodelovanjem pomembno prispeva k njihovemu preprečevanju: ob sprejemu z uskladitvijo terapije, med zdravljenjem s pripravo ustreznih farmacevtskih oblik in svetovanjem ter ob odpustu s preverjanjem dostopnosti zdravil v domačem okolju ter z izdelavo in sprotno posodobitvijo Osebne kartice zdravil. Sistematično vključevanje farmacevta v multidisciplinarni tim, skupaj s pediatričnim nefrologom in medicinsko sestro, lahko prispeva k preprečevanju napak, boljši adherenci in postopnemu opolnomočenju mladostnika za samostojno upravljanje lastne terapije. Za boljšo dostopnost zdravil pa bi bilo smiselno na ravni države sistematično spremljati potrebe po pediatričnih farmacevtskih oblikah in jih upoštevati pri razvrščanju zdravil na listo.

Literatura

1. Močnik M, Marčun Varda N. Management and treatment of children with chronic kidney disease. Acta Med Biotech 2025; 18: 10–8.
2. van der Zanden TM, Mooij MG, de Hoog M, de Wildt SN. Beyond the label: rethinking off-label drug use in paediatrics. Towards a scientifically grounded and safer future for paediatric pharmacotherapy. Br J Clin Pharmacol 2026 (v tisku). doi: 10.1002/bcp.70461.
3. Laptoš T, Mitrović S. Izzivi in novosti pri pripravi magistralnih zdravil v Univerzitetnem kliničnem centru Ljubljana. Farm Vestn 2022; 73: 343–8.
4. Centralna baza zdravil. Magistralna zdravila, ki so razvrščena na listo. Dosegljivo na: https://www.cbz.si/zzzs/pao/bazazdr2.nsf/pregled20?openview&count=20000 (dostop 4. 10. 2026).
5. Centralna baza zdravil. Iskalnik zdravil in povzetki glavnih značilnosti zdravil. Dosegljivo na: https://www.cbz.si (dostop 4. 10. 2026).
6. Pravila obveznega zdravstvenega zavarovanja. Uradni list RS, št.97/94, 3/98, 30/3, 124/23, 82/24, 3410/2025.
7. Zakon o zdravilih (ZZdr-2). Uradni list RS, št. 17/14, 66/19, 102/24 – ZZKZ in 24/25.

8. Pravilnik o razvrščanju zdravil na listo. Uradni list RS, št. 35/13 in 121/23.

9. Kidney Disease: Improving Global Outcomes (KDIGO) CKD-MBD Update Work Group. KDIGO 2017 clinical practice guideline update for the diagnosis, evaluation, prevention, and treatment of chronic kidney disease-mineral and bone disorder (CKD-MBD). Kidney Int Suppl 2017; 7: 1–59.

10. McAlister L, Pugh P, Greenbaum L, Haffner D, Rees L, Anderson C, et al. The dietary management of calcium and phosphate in children with CKD stages 2–5 and on dialysis – clinical practice recommendation from the Pediatric Renal Nutrition Taskforce. Pediatr Nephrol 2020; 35: 501–18.

11. Levin A, Ahmed SB, Carrero JJ, Foster B, Francis A, Hall RK, et al. Executive summary of the KDIGO 2024 clinical practice guideline for the evaluation and management of chronic kidney disease: known knowns and known unknowns. Kidney Int 2024; 105: 684–701.

12. Pravilnik o izvajanju storitev lekarniške dejavnosti v bolnišnični lekarni. Dosegljivo na: http://pisrs.si (dostop 4. 10. 2026).

13. Miotto MB, Balchan B, Combe L, O'Leary SC, Bode S, Baum M, et al. Safe administration of medication in school: policy statement. Pediatrics 2024; 153: e2024066839.

14. Nacionalni inštitut za javno zdravje. Navodila za uporabo modula Osebne kartice zdravil (OKZ) na portalu zVEM+. Ljubljana: NIJZ; 2023. Dosegljivo na: https://ezdrav.si/wp-content/uploads/2023/03/20230309-Navodila-za-OKZ.pdf (dostop 4. 10. 2026).

15. Watson AR, Harden P, Ferris M, Kerr PG, Mahan J, Ramzy MF. Transition from pediatric to adult renal services: a consensus statement by the International Society of Nephrology (ISN) and the International Pediatric Nephrology Association (IPNA). Pediatr Nephrol 2011; 26: 1753–7.

16. European Medicines Agency. Aspaveli (pegcetacoplan) – EPAR. Dosegljivo na: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/aspaveli (dostop 4. 10. 2026).

17. McNamara LA, Topaz N, Wang X, Hariri S, Fox L, MacNeil JR. High risk for invasive meningococcal disease among patients receiving eculizumab (Soliris) despite receipt of meningococcal vaccine. MMWR Morb Mortal Wkly Rep 2017; 66: 734–7.

Tomislav Laptoš, mag. farm.
(kontaktna oseba / *contact person*)
Univerzitetni klinični center Ljubljana
Zaloška 7, 1000 , Slovenija
e-naslov: tomi.laptos@kclj.si

doc. dr. Matjaž Kopač, dr. med.
Klinični oddelek za nefrologijo, Pediatrična klinika, Univerzitetni klinični center Ljubljana, Slovenija in Katedra za pediatrijo, Medicinska fakulteta, Univerza v Ljubljani, Slovenija

prof. dr. Tanja Kersnik Levart, dr. med.
Klinični oddelek za nefrologijo, Pediatrična klinika, Univerzitetni klinični center Ljubljana, Slovenija in Katedra za pediatrijo, Medicinska fakulteta, Univerza v Ljubljani, Slovenija

Laptoš T, Kopač M, Kersnik Levart T. Pasti v omarici z zdravili: vloga farmacevta pri zdravljenju otrok s kronično ledvično boleznijo in z redko boleznijo s prizadetostjo ledvic. Slov Pediatr 2025; 33(4): 248–254. https://doi.org/10.38031/slovpediatr-2026-4-07.

prispelo / *received*: 1. 10. 2026
sprejeto / *accepted*: 22. 10. 2026