



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”

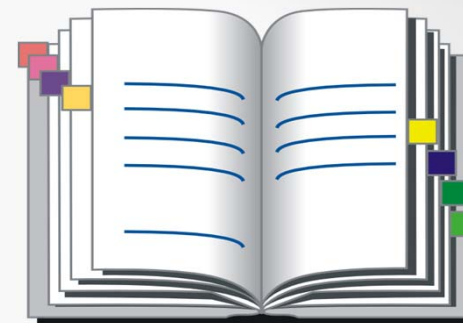
Torino, 5 giugno 2015

La rete SIFO per le MR : Condivisione in plenaria delle attività dei GdL e take home message

D. Bettoni, S. Borgna,



Gruppo SIFO Malattie Rare Regione Lombardia



- **FARMACI E MALATTIE RARE: GUIDA OPERATIVA**

Da novembre 2013, pubblicazione estate 2015

Lavoro multidisciplinare: malattie rare, farmaci orfani, riferimenti (AIFA, ISS, Min Salute), Regione (Centro di Riferimento, normativa), terapie difficilmente reperibili (648/96, off label consolidato, expanded access, importazione, stabilimento chimico farmaceutico militare, off label, galenici), casi particolari: emofilia, narcolessia, fibrosi cistica

- **GRUPPO DI LAVORO MULTIDISCIPLINARE IN REGIONE LOMBARDIA**



- **CRITICITA'**



- ✓ OFF LABEL (al di fuori della normativa L.94/98)
- ✓ malattie epidemiologicamente rare, ma non ancora riconosciute come tali (problema del ritardo nell'aggiornamento della normativa)
- ✓ Assistenza domiciliare
- ✓ risorse

EMOFILIA, MODELLI ORGANIZZATIVI



Protocolli d'intesa ASL – Ospedale
Brescia dal 2009



Collaborazione ASL-Ospedale per gestire terapie salvavita con ottimizzazione:

- di personale
- dei farmaci



1. La ASL dà in comodato d'uso gratuito **frigorifero e i fattori della coagulazione** (in quantitativi adeguati agli utilizzi degli emofilici residenti).
2. I **farmaci** sono stoccati in **PS** che li dispensa risolvendo problemi di carenza.
3. La **Farmacia ospedaliera** ripristina le scorte ed, in accordo con l'Ufficio Farmaceutico dell'ASL, alla sostituzione di prodotti in scadenza.

A carico della AO i fattori della coagulazione per pazienti con accessi al PS per urgenze emorragiche o non residenti.

Vantaggi:

Per l'AO = disponibilità dei farmaci senza impegno di risorse e rischio di scadenze

Per la ASL= servizio ai pazienti 24 ore al giorno
senza coinvolgimento diretto del suo personale





La Riabilitazione: protocollo Domus

Ambulatorio specifico di Riabilitazione Specialistica Polifunzionale per pazienti con artropatia emofilica

- pazienti emofilici sottoposti a **chirurgia ortopedica** in diversi ospedali
- **preventivamente segnalati** dal Centro di Riferimento o dai Centri Emofilia dell'AO inviante ogni mese
- **La Farmacia ha il nome del paziente e un quantitativo di farmaco** (fabbisogno di almeno una settimana, definita posologia per l'emergenza (oltre l'infusione di routine).
- **La Farmacia si approvvigiona** presso le Ditte farmaceutiche
- Il giorno in cui il paziente giunge in reparto, **il farmaco è già disponibile e**
- Il Centro Emofilia segnala il fabbisogno del paziente, **dopo le valutazioni post-chirurgiche (dosaggio fattore pre e post)**
- La posologia è modificata in base alle:
 - ✓ condizioni del paziente
 - ✓ caratteristiche della ferita
 - ✓ problematiche del trattamento riabilitativo, in accordo col Centro Emofilia di riferimento
- **Il trattamento riabilitativo inizia solo dopo infusione del fattore della coagulazione**



MODELLO ORGANIZZATIVO PER LA GESTIONE DEI PAZIENTI EMOFILICI ASL DI VARESE



Invio piano terapeutico annuale per
verifica e richiesta farmaco

Distretto sociosanitario

richiesta farmaco

Centro prescrittore emofilia

Invio piano
terapeutico
annuale

UOC Farmaceutica Territoriale

Ordine farmaco/
predisposizione consegna
presso magazzino

Consegna a distretto per
ritiro da parte del paziente

Consegna
diretta a
paziente



Proposte

Sull' informazione

- informazione in tema più accessibile e completa per

- ✓ i pazienti

- ✓ i sanitari

- maggior appropriatezza delle terapie

- Sito unico nazionale dedicato alle malattie rare

- Sito AIFA: 648/96 e off label consolidato

- ISS: accesso per i farmacisti ai registri delle malattie rare

- Regione: accesso per i farmacisti alla rete delle malattie rare

Sull' organizzazione

- Mappatura dei farmaci

- ✓ riduzione delle urgenze

- ✓ minor rischio di scadenze

- ✓ maggior appropriatezza delle terapie

- rete delle strutture che abitualmente gestiscono i farmaci "critici",

- sito dedicato con informazioni su:

- ✓ centri di riferimento

- ✓ contatti per l'ordine

- ✓ costi medi

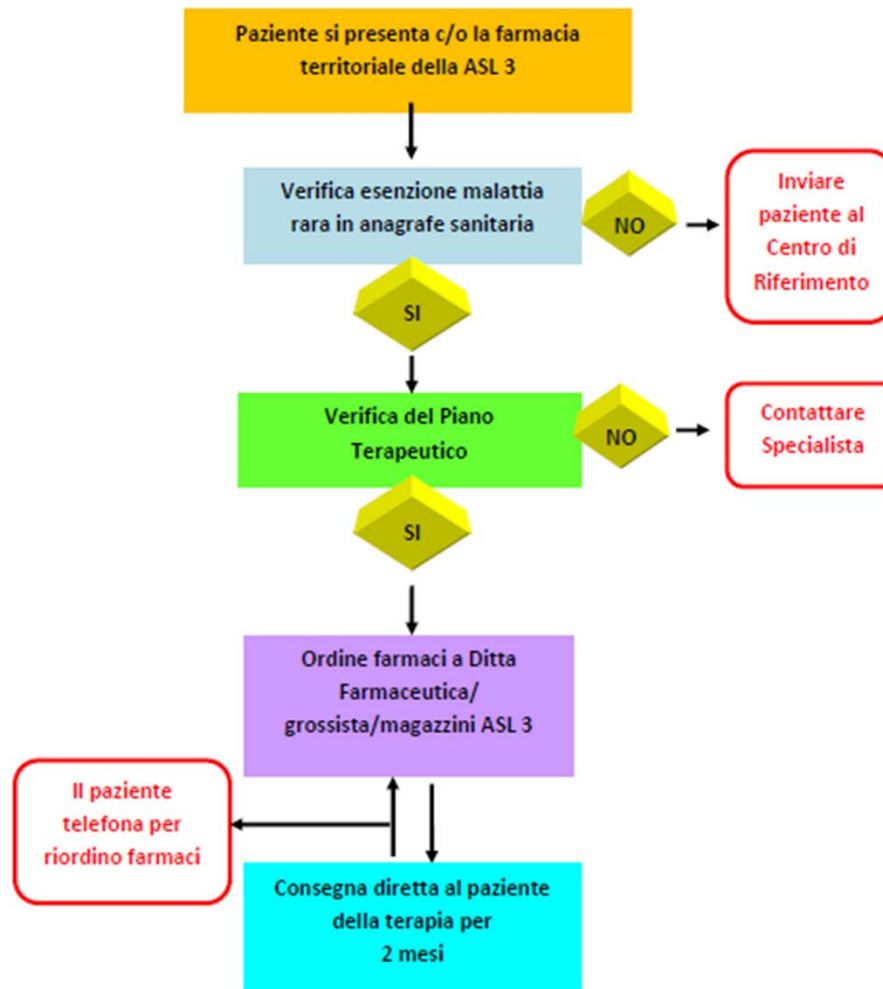


MALATTIE RARE

- Dal **2011** è stata attivata la **distribuzione diretta dei farmaci** ai pazienti affetti da patologia rara (con esenzione in anagrafe sanitaria)
- I farmaci dispensati sono
 - farmaci di fascia A e H**
 - farmaci esteri**
 - farmaci secondo legge 648/96**
 - farmaci di fascia C**
 - parafarmaci**
 - dispositivi medici**
- Nell' **anno 2014** la spesa per i farmaci delle malattie rare è stata complessivamente (Ospedale e Territorio) di circa **960.000 €**
- Ad oggi i pazienti che ritirano farmaci per patologie rare nelle farmacie del Dipartimento Attività Farmaceutiche sono circa **600** (il **77%** è in carico alle farmacie territoriali)
- Le patologie rare più ricorrenti sono
 - connettivite indifferenziata**
 - connettivite mista**



MODELLO ORGANIZZATIVO PER LA GESTIONE DEL PAZIENTE AFFETTO DA PATOLOGIA RARA IN ASL 3 GENOVESE



ESEMPIO N.1 DI PIANO TERAPEUTICO PER RICHIESTA FARMACI

**MALATTIE RARE –
SCHEDA PRESCRIZIONE FARMACI**

DATI GENERALI ASSISTITO

Nome e cognome _____
 Cod Fiscale /Cod.reg _____
 Luogo e data di nascita _____
 A.S.L.di residenza_ 03 _Provincia_ GE _Regione_ LIGURIA
 M.M.G. o P.L.S.____ PEDEMONTE ANDREA

Diagnosi: sindrome di Melkersson Rosenthal Effettuata in data__ 2014
 Codice Esenzione RF0160 _____
 Centro- Struttura complessa : ____ OSPEDALE GALLINO

PROGRAMMA TERAPEUTICO

Deltacortene (prednisone) 5 mg due c al di
 Coumadin per mantenere INR fra 2 e 3, → antitrombotico
 Karvezide (irbesartan/idroclorotiazide) 300/25 mg 1 c al di
 Cardicor (bisoprololo) 5 1 c al di
 Lacipil (lacidipina) 6 mg 1 c al di
 Xatral (alfuzosina) 2 c al di da 2,5 mg
 Proscar (finasteride) 1 c al di
 Control (lorazepam) 2,5 una c al di
 Lasix (furosemide) 25 una c,
 Dibase (vitamina D) 10.000 U 20 gtt alla settimana,
 Calcium Sandoz (calcio) 1000 una al di,
 KCL retard (potassio) 1 c al di,
 Lyrica (pregabalin) 150 2 c al di
 Normast 600 (palmitoiletanolamide) 2 c al di → parafarmaco
 Patrol (paracetamolo + tramadolo) una c al di in caso di dolore

I parafarmaci sono indispensabili e insostituibili per la patologia

Durata del trattamento UN ANNO

Prima prescrizione ____x____ Prosecuzione della terapia

Timbro e firma del medico prescrittore/ Centro

Data, 30-4-15

ASL 3 GENOVA
 OSPEDALE GALLINO
 Ambulatorio Malattie Rare

Utilizzo di un sartano
e un Ace inibitore

Farmaci usati nella
Ipertrofia prostatica
benigna

ESEMPIO N.2 DI PIANO TERAPEUTICO PER RICHIESTA FARMACI

PPI →

Farmaco per la tiroide →

Antiepilettico →

Ansiolitico →

Parafarmaci
Integratori
alimentari →

**MALATTIE RARE –
SCHEDA PRESCRIZIONE FARMACI**

PACIENTE ALI ASSISTITO

Nome e cognome _____

Cod Fiscale /Cod.reg _____

Luogo e data di nascita GENOVA 16-08-1976

A.S.L. di residenza 03 Provincia GE Regione LIGURIA

M.M.G. o P.L.S. Dott. Nazzari

Diagnosi: CONNETTIVITE INDIFFERENZIATA Effettuata in data 2008

Codice Esenzione RMG010

Centro- Struttura complessa : Azienda Ospedale Università San Martino Divisione di Ematologia

PROGRAMMA TERAPEUTICO

ESOPRAL (esomeprazolo 40 mg) 1-2 c al dì (all'occorrenza)

TACHIPIRINA (paracetamolo) c 1 g una c al dì in caso di febbre e dolori

Coumadin in base INR

TALOFEN gtt (promazina HCL) 25 gtt + 10 gtt alla sera

GLICERINA supposte al bisogno

Optive Plus (lacrime artificiali per Xerofthalmia) all'occorrenza

BUSCOPAN COMPOSITUM (butilbromuro+paracetamolo) c in caso di coliche addominali

Coefferalgan (paracetamolo+codeina) c in caso di dolori

Deltacortene (prednisone) 5 mg ½ c /die

EUTIROX (ormni tiroidel) 75 mcg/die

Nerxia (nalidronato) 25 mg una fiala al mese

Dibase (Vitamina D) 20 gtt alla settimana

Fevarin 100 mg (Fluvoxamina) una c al dì

Gabapentin 400 mg 1 c x 2 al dì

Rivotril (Clonazepan) 20 gtt alla sera

Paxabel (macrogol) una busta al dì

Xanax (alprazolam) 1 mg/die

Voltaren gel (Diclofenac sodico) all'occorrenza

Clismalax (clismi) 133 ml all'occorrenza

Gelistrol gel vaginale (lubrificante) all'occorrenza

Flector cerotti medicati all'occorrenza

Prother-SOD (Integratore alimentare ad attività antiossidante) 1 bustina/die

Sideral Forte (Integratore a base di ferro) 1c/die

IDA integratore (integratore alimentare a base di lactobacillus) una compressa al dì a cicli

Methotrexate 10 1 fl alla settimana

Folina (ac.folico) 2c/settimana

Santes (ac. ialuronico e vit) Ovuli vaginali

Fluifort (carbocisteina) bustine 1/die a cicli

Navoban (topisetron) cpr 5 mg 1c al bisogno

Kytril (granisetron) 10 mg 1c al bisogno

I PARAFARMACI SONO INSOSTITUIBILI E INDISPENSABILI PER LA MALATTIA

Durata del trattamento UN ANNO

Prima prescrizione _____ Prosecuzione della terapia x

Timbro e firma del medico prescrittore/ Centro

GE 20-08-2013

Dott. _____
C.F.: R55 D90 39M25 0999V

Dispositivo medico →

**ESEMPIO N.3
DI PIANO
TERAPEUTICO
PER RICHIESTA
FARMACI**

**MALATTIE RARE –
SCHEDA PRESCRIZIONE FARMACI**

DATI GENERALI ASSISTITO

Cognome e Nome _____
Cod Fiscale /Cod.reg _____
Luogo e data di nascita Genova 24/03/1941
A.S.L.di residenza 03 Provincia GE Regione Liguria
M.M.G. o P.L.S dott.ssa Loredana Lombardi

Diagnosi: Connettivite Indifferenziata
Effettuata in data 2002

Codice Esenzione _____RMG010
Centro- Struttura complessa
Azienda Ospedaliera Università San Martino

DATI TERAPEUTICI

Farmaco/Farmaci- Posologia

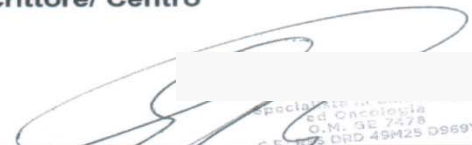
- Clexane (eparina a basso PM) 4000 U 1fl/die
- Seacor (ac.grassi ad alto contenuto DHA ed EPA)1 gr: 2c/die
- Folina 1c/die
- Azatioprina 50 mg 2cpr/die
- Lansoprazolo 30 mg 1cpr/die

Gli integratori e i parafarmaci suddetti sono indispensabili ed insostituibili per la patologia

Durata del trattamento _____1 anno _____

Timbro e firma del medico prescrittore/ Centro

Data 01/08/2013


Specialista in _____
ed Oncologia
C.M. GE 7478
C.F. GE DRD 49M25 0969Y

CRITICITA'



- **Gestione del paziente affetto da patologia rara**
 - ✓ fragilità emotiva del paziente/familiari
 - ✓ Numerosità dei trattamenti (media di 6 farmaci per P.T. , erogati 2 mesi di terapia)
- **Difficoltà di controllo/verifica correlazione farmaci con la diagnosi**
- **Complessità di gestione degli ordine dei farmaci**
 - ✓ Altri magazzini ASL 3 per i farmaci in PTO/PTA (magazzino ospedaliero consegna 1 volta a settimana)
 - ✓ Grossisti (farmaci in fascia C, parafarmaci, dispositivi medici)
 - ✓ Ditte farmaceutiche (farmaci in gara, fascia A , H)
- **Necessità di un magazzino dedicato alle malattie rare** (stoccaggio, gestione scorte e preparazione pacchetti ad personam)
- **Gestione delle scorte** (elevato numero di referenze con bassa giacenza)
- **Tempo necessario all'erogazione diretta**
 - ✓ Gestione telefonate pazienti e ordine farmaci
 - ✓ Preparazione pacchetti
 - ✓ De-fustellatura farmaci su PT cartaceo (media di 10-15 fustelle per piano)
 - ✓ Dopo consegna a pz scarico su programma aziendale EDF (Erogazione Diretta Farmaci)



- La realizzazione del corso nasce dall'esigenza di :
 - ✓ Raccogliere informazioni preliminari attraverso la survey del questionario conoscitivo
 - ✓ Creare un momento di condivisione/scambio al fine di mettere in luce le diverse gestioni in ambito regionale e interregionale
 - Gli obiettivi principali sono quelli di
 - ✓ portare a casa un messaggio di **benchmarking** da poter proporre e/o applicare nel proprio ambito lavorativo al fine di uniformare l'accesso alle cure per i pazienti affetti da patologie rare
- Creazioni di Protocolli terapeutici per patologie basati sulle evidenze scientifiche in collaborazione con gli Specialisti**
- ✓ Creare una “**Rete nella Rete**” ovvero far si che questi incontri possano continuare ad esistere attraverso lo scambio di idee, proposte e migliorie con i referenti partecipanti.

GDL

modelli
organizzati
vi per
l'erogazione
e delle
prestazioni

Domande		FRIULI	LIGURIA	LOMBARDIA	PIEMONTE	TRENTINO	VALLE D'AOSTA	VENETO
Provenienza farmacista	Ospedale							
	Territorio							
	Altro							
Distribuzione diretta?	fascia A							
	fascia A-PHT diretta o DPC							
	fascia H							
	fascia OSP							
	estero tutti o con deposito italiano per sdoganamento ?							
	legge farmaci esteri							
	documento Ministero?							
	farmaci off label?							
Dispensi fascia C, parafarmaci o DM?								
	si							
Se sì	no							
	quali DM?							
	solo Nomenclatore Tariffario?							
	come valuti DM con AIC dopo quelli per instillazione vescicale?							
	quali parafarmaci?							
	quali cosmetici?							
	esistono PDTA specifici?							
	secondo quale delibera/circola re?							
Quale prescrizione?								
	Ricetta SSN							
	PT Regionale							
	PT							
	Altro							

GDL

modelli
organizzati
vi per
l'erogazione
e delle
prestazioni

Domande		FRIULI	LIGURIA	LOMBARDIA	PIEMONTE	TRENTINO	VALLE D'AOSTA	VENETO
Procedura richiesta/ dispensazione farmaci è informatizzata?								
Centro prescrittore è sempre centro riferimento?								
Se sì, quale sistema utilizzi per verificare?								
Può essere migliorato il sistema?								
Come?								
Consulti specialista?	quando?							
Proponi variazioni nelle terapie?	quando?							
	come reagisce il clinico alle richieste?							
PT extra- Regione								
Approvvigionamento farmaci								
Scarico fustelle	dati consumo							
	centro di costo che monitora?							
	flusso F							

PROPOSTE CONDIVISE EMERSE DAL GdL

MODELLO IDEALE	MODELLO INTERMEDIO	MODELLO BASE
		

GRAZIE A TUTTI



Daria Bettoni

A.O. Ospedali Civili di Brescia
Farmacia

Piazzale Spedali Civili n1 25123 Brescia

tel: 030 3996523, fax 030 3996074

e-mail: daria.bettoni@spedalicivili.brescia.it

Simona Borgna

Azienda Sanitaria Locale n. 3 "Genovese"

S.C. Assistenza Farmaceutica Convenzionata

Palazzo della Salute

Via Operai, 80 16149 Genova-Sampierdarena

tel.: +39.010.8497158 fax +39.010.8497076

e-mail: simona.borgna@asl3.liguria.it