

Protocollo di intesa tra**I'ASL DI PAVIA,
I'AO Pavia,
i PRESIDI DI RETE MALATTIE RARE e
le STRUTTURE DI RICOVERO E CURA PUBBLICHE E PRIVATE ACCREDITATE****per****L'ATTUAZIONE DEL PERCORSO CONDIVISO DI PRESA IN CARICO PER LE MALATTIE RARE
ai sensi della DGR N.IX/1185/2013**

Al fine di ottemperare alle disposizioni di Regione Lombardia dettate con DGR n. IX/1185/2013 al punto 3.3.5, ad oggetto: "Malattie Rare: percorso condiviso ASL/AO di presa in carico" e di promuovere una modalità condivisa per la quale il paziente trovi univoco comportamento sul territorio, l'ASL di Pavia, i Presidi di Rete Malattie Rare (presso L'IRCCS Policlinico San Matteo, IRCCS Fondazione Mondino, IRCCS Fondazione Salvatore Maugeri) e le Strutture di Ricovero e Cura Pubbliche e Private Accreditate

CONCORDANO IL PRESENTE PERCORSO

elaborato sulla base delle indicazioni impartite dalla D.G. Salute, che ha definito i ruoli delle ASL, dei Presidi di Rete Malattie Rare e delle Strutture presenti nel luogo di residenza dell'assistito affetto da malattia rara.

1. Premessa

La Delibera della Giunta Regionale Lombarda n°VII/7328 del 2001 ha stabilito quanto segue.

- *I pazienti affetti dalle malattie rare esenti incluse nell'apposito elenco ministeriale hanno diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo per i farmaci necessari alla cura della malattia.*
- *In particolare, possono essere forniti gratuitamente tutti i farmaci registrati sul territorio nazionale (classi: A, H, C), i farmaci inseriti negli elenchi speciali predisposti dall'AIFA (legge 648/96 e relativi allegati) e i farmaci registrati all'estero (Decreto 11 febbraio 1997, "Modalità di importazione di specialità medicinali registrate all'estero").*
- *La terapia farmacologica deve essere prescritta dallo specialista che opera nel Presidio della Rete Malattie Rare identificato per la specifica malattia, per mezzo della Scheda per la Prescrizione dei Farmaci. Tale scheda, conosciuta anche come Piano Terapeutico, ha validità massima di un anno ed è rinnovabile dal medico specialista del Presidio. Ai fini dell'erogazione dei farmaci in regime di esenzione copie di detta scheda devono essere fatte pervenire al medico curante (Medico di Medicina Generale o Pediatra di Libera Scelta) e alla ASL di residenza dell'assistito.*
- *Sia a livello nazionale che regionale i farmaci orfani non sono ad oggi inclusi in un "fondo specifico" ma partecipano alla spesa farmaceutica e alla definizione del tetto nazionale e regionale; la spesa per tali farmaci dovrebbe essere intesa come una "dote" che segue il paziente e non una spesa attribuibile solo alla singola struttura.*

- *I fondi per i farmaci prescritti per le malattie rare non sono extrabudget, ma hanno un “tetto di sistema” a livello regionale in quanto ricompresi nel finanziamento sanitario nazionale.*

2. **Obiettivo**

Il presente documento ha l'obiettivo di definire nel contesto pavese il percorso del paziente affetto da Malattia Rara al fine di garantirne l'accesso facilitato alle terapie appropriate, secondo modalità generali uniformemente indicate a livello regionale.

Il documento definisce in tal senso i ruoli dell'ASL e delle strutture presenti nel luogo di residenza dell'assistito, evidenziando le competenze dei Presidi di Rete Malattie Rare (RMR).

3. **Ruolo del Presidio di Rete Malattie Rare**

Secondo quanto indicato a livello regionale il Presidio di Rete Malattie Rare (RMR):

- Dopo l'accertamento diagnostico, provvede a dispensare direttamente la terapia prescritta, così da avviare tempestivamente il trattamento e valutarne l'efficacia e la tollerabilità. Garantire l'erogazione di terapie per le malattie rare individuate è quindi requisito fondamentale per ciascun Presidio di RMR;
- Redige la certificazione ai fini dell'esenzione per malattia rara;
- Redige, se necessario, il Piano Terapeutico; ne trasmette copia all'ASL di residenza dell'assistito e consegna allo stesso ulteriore copia per il MMG/PLS;
- Trasmette puntuale ed adeguata informazione circa la diagnosi e i trattamenti prescritti al MMG o PLS, al fine di garantire l'integrazione delle informazioni sul paziente affetto da Malattia Rara;
- Per garantire la continuità di cura, prende contatti con i clinici della struttura ospedaliera territoriale più vicina al domicilio dell'assistito, subordinatamente al parere favorevole dello specialista di riferimento del Presidio di RMR e previo assenso del paziente o del legale rappresentante. Concorda le modalità di accesso a tale struttura, garantendo la continuità di cura ed informando il centro Malattie Rare dell'ASL di residenza dell'assistito. Per gli assistiti dell'ASL di Pavia: Pavia-Via Indipendenza n.3 -
- Tel.0382/431215 - Fax 0382/431360 "Nucleo Informativo per i pazienti con Malattia Rara" - Delibera n.7/ DGi del 11.01.2010;
- Garantisce la fornitura diretta nel caso di: terapie in fascia H, farmaci registrati all'estero che si possono somministrare a domicilio (orali e sottocutanee), farmaci caratterizzati da particolari difficoltà di reperimento e/o di gestione, farmaci inseriti nei Registri Farmaci sottoposti a Monitoraggio predisposti da AIFA. Per ridurre gli accessi del paziente si deroga dai 60 giorni previsti per la rendicontazione in File F, secondo quanto disposto dalla DGR n° X / 1185 del 20/12/2013, consentendo anche la copertura sino a 90 giorni, al fine di far coincidere la visita di controllo con la fornitura/erogazione della terapia;
- Garantisce la fornitura di eventuali farmaci inseriti nella Legge 648/96 (Tipologia 3 del File F) che, anche se classificati in fascia A per altre indicazioni terapeutiche, sono unicamente di competenza del Presidio di RMR. I farmaci esteri (Tipologia 9 del File F) possono essere forniti solo per le

indicazioni registrate nei paesi di provenienza (ai sensi del D.M. 31 gennaio 2006 “Modificazioni al decreto 11 febbraio 1997, Modalità di importazione di specialità medicinali registrate all'estero”).

4. Ruolo dell'Ospedale vicino alla residenza dell'assistito

La struttura territoriale, individuata dal Presidio di RMR regionale ed in collegamento funzionale con esso:

- Secondo quanto concordato con il Presidio di RMR, effettua gli interventi pianificati per garantire la continuità di cura;
- Provvede alla eventuale infusione di terapie complesse che comportano assistenza ospedaliera, qualora venga richiesto dal paziente l'accesso alla terapia nel luogo più vicino alla residenza. Tale possibilità si applica anche per pazienti presi in carico da Presidi di RMR extraregione, qualora si verificano le condizioni suddette.

Si evitano così spostamenti che possono risultare economicamente onerosi e/o gravosi in termini di tempo necessario, con conseguente peggioramento della qualità della vita, in accordo con la normativa vigente (DGR. 20/01/09 n. VIII/8884, art.3 Burl., 1° suppl. straordinario al n.5 del 03/02/2009).

5. Ruolo dell'ASL

- La ASL ha competenza e predispone, anche per il tramite delle farmacie territoriali, l'erogazione dei farmaci in fascia A e C e dei galenici prescritti (ricetta rossa) e di tutto quanto non richiede assistenza specialistica;
- In caso di richieste di integratori/ parafarmaci / presidi extra-LEA la richiesta sarà valutata dal Comitato forniture straordinarie dell'ASL;
- Per i pazienti lombardi, in cura presso Presidi di RMR extraregionali, l'ASL assicura l'erogazione delle terapie non disponibili presso le farmacie al pubblico e l'importazione dei farmaci esteri eventualmente prescritti, sia non registrati che carenti sul territorio nazionale, per il tramite dei Presidi di RMR regionali, gli Ospedali, IRCCS o Fondazioni afferenti al territorio di residenza dei pazienti .
- L'allocazione presso strutture ospedaliere regionali va riservata alle terapie infusionali e/o che richiedono un complesso monitoraggio. L'ASL garantisce la continuità assistenziale tramite farmaci disponibili in commercio, a bassa criticità di utilizzo, evitando duplicazioni di visite e controlli ospedalieri che si traducono in un aumento ingiustificato dei costi complessivi per il SSR.

Va sempre attentamente valutata e condivisa la necessità di indirizzare il paziente seguito da un centro extraregionale ad un centro di RMR regionale, ospedale territoriale, IRCCS o Fondazione; la scelta deve essere fatta tenendo conto delle necessità cliniche e nel rispetto delle scelte del paziente.

Qualora sia necessaria una specifica assistenza ospedaliera per l'assistito lombardo seguito da Presidi di RMR fuori regione, l'ASL di competenza tramite il proprio Nucleo informativo Malattie Rare esercita un ruolo di coordinamento e di facilitazione all'accesso delle cure, coordina gli interventi, fornisce al clinico di competenza dell'ospedale locale o del Presidio di RMR regionale tutta la documentazione necessaria e gli indispensabili contatti con lo specialista del Centro di riferimento di provenienza.

6. Farmaci off-label

L'obiettivo del presente documento è quello di dettagliare il percorso operativo di valutazione di una prescrizione off label di farmaco nel caso di paziente affetto da malattia rara, in attuazione alle Regole di Sistema 2015 di Regione Lombardia (DGR n. X/2989 del 23/12/2014).

Secondo tale documento, in casi selezionati, quando non siano disponibili o si siano già dimostrati inefficaci farmaci in indicazione, lo Specialista che opera nel presidio di riferimento per una determinata malattia rara può proporre l'impiego di un farmaco al di fuori delle indicazioni autorizzate riportate nel Riassunto delle caratteristiche del prodotto (RCP). Tale uso "off label" può attenersi all'impiego del farmaco secondo una diversa indicazione terapeutica, un diverso dosaggio, una diversa modalità di somministrazione, un diverso gruppo di pazienti, rispetto a quelli per cui ha ottenuto l'Autorizzazione all'Immissione in Commercio (AIC) e riportati in RCP.

Prescrizione

Lo Specialista del Presidio per la malattia rara in questione avanza richiesta al Servizio di Farmacia Ospedaliera a cui afferisce utilizzando il modello allegato (allegato A).

La Farmacia Ospedaliera esegue le opportune verifiche sull'indicazione proposta, seguendo lo schema sottostante:

IL FARMACO	FONTE INFORMATIVA/ LEGISLAZIONE	ESITO
1. E' IN INDICAZIONE?	RCP (Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto)	
NO ↓	SI →	PT File F Tip. 10
2. E' INSERITO NELLA LEGGE 648/96?	http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/normativa-di-riferimento-sperimentazione-clinica	
NO ↓	SI →	PT File F Tip. 3
3. E' INSERITO NELLE LISTE OFF LABEL CONSOLIDATE DELLA LEGGE 648/96?	http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/normativa-di-riferimento-sperimentazione-clinica	
NO ↓	SI →	PT File F Tip. 3
4. E' PREVISTO DAL PDTA DI REGIONE LOMBARDIA?	http://malattierare.marionegri.it/content/view/123	
NO ↓	SI →	PT File F Tip. 10
5. SONO DISPONIBILI STUDI DI FASE II O SUPERIORI CON RISULTATI FAVOREVOLI?	Ricerca bibliografica (esempio): – Ricerca Medline http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/advanced	
NO ↓	SI →	Format (all. B) PT File F Tip. 10
6. RICHIEDERE PARERE AL CENTRO DI COORDINAMENTO	Documentazione via e-mail a raredis@marionegri.it : – PT – Relazione clinica	

	<ul style="list-style-type: none"> - Format di valutazione della richiesta (all. B) - Eventuale letteratura reperita 	
	Parere favorevole	
	SI →	PT File F Tip. 10

Legenda: PT: Piano Terapeutico; PDTA: Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale

Nei casi 5) e 6) il Farmacista compila il format di valutazione (allegato B), di verifica dei requisiti di legge e della documentazione a supporto della richiesta.

Nel caso 5), dopo aver verificato la sussistenza dei requisiti, il Farmacista invia la documentazione alla propria Direzione Sanitaria per presa d'atto. Informa il Centro di Coordinamento inviando successivamente tutta la documentazione anche allo stesso.

Nel caso 6) invia il format di valutazione al Centro di Coordinamento congiuntamente alla documentazione inviata dallo Specialista richiedente, e attende il parere del Centro.

Nel caso in cui il Centro di Coordinamento dia parere favorevole ad un utilizzo off label per una terapia in assenza di studi di fase II, lo stesso provvederà, quando appropriato, all'aggiornamento del PDTA relativo.

Erogazione

L'erogazione della terapia off label per gli assistiti del Sistema Sanitario Regionale Lombardo (iscritti al NAR (anagrafe assistiti di Regione Lombardia) avviene ad opera del Centro prescrittore per il tramite della Farmacia Ospedaliera nella tipologia file F prevista.

Per i pazienti iscritti al NAR Lombardia e seguiti da Presidi di riferimento per malattie rare di altre regioni, si dovrà fare riferimento agli accordi interregionali, in corso di stesura.

Follow up

Il medico prescrittore ha la responsabilità della presa in carico del paziente e del suo monitoraggio clinico: egli, pertanto, dovrà fornire ad intervalli regolari alla Farmacia Ospedaliera una relazione clinica dettagliata sugli esiti e sulla sicurezza del trattamento, con una periodicità che dipenderà dal farmaco e dalla patologia, ma che non potrà in ogni caso superare i 6 mesi dall'inizio del trattamento. I seguenti sono i dati di minima da produrre sul singolo paziente:

- valutazione della terapia: nessuna risposta; risposta al momento non valutabile; risposta parziale; risposta completa;
- Reazioni avverse osservate in corso di terapia: no; si (con descrizione);
- Fine trattamento – esito: miglioramento; risposta assente o insufficiente; reazione avversa; decesso; altro (specificare).

Il Centro di Coordinamento produce periodicamente (almeno annualmente) un resoconto delle terapie off label per malattia rara, e pianifica, quando opportuno, specifici progetti di monitoraggio degli esiti e della sicurezza di tali trattamenti.

Pazienti residenti

Per i pazienti lombardi, in cura presso Presidi di RMR extraregionali, la ASL assicura l'erogazione delle terapie non disponibili presso le farmacie al pubblico, dei farmaci *off-label*, e l'importazione dei farmaci esteri eventualmente prescritti, sia non registrati che carenti sul territorio nazionale, direttamente o anche per tramite dei Presidi di RMR regionali, ospedali territoriali, IRCCS o Fondazioni. L'allocazione presso strutture ospedaliere regionali va riservata alle terapie infusionali e/o che richiedono un complesso monitoraggio. La ASL garantisce la continuità assistenziale tramite farmaci disponibili in commercio, a bassa criticità di utilizzo.

Per quanto attiene la fornitura, in analogia con quanto previsto per i farmaci inseriti nella Legge 648/96, per gli assistiti dal SSR lombardo l'erogazione deve essere garantita dal Presidio di rete malattie rare e la rendicontazione è **in tipologia 10 del File F** (se erogata dal Presidi di RMR regionali, ospedali territoriali, IRCCS o Fondazioni), **in tipologia 13 del File F** (se erogata direttamente dalla ASL).

Pazienti non residenti

Se invece il paziente risiede in un'altra regione, riceverà il Piano Terapeutico e farà riferimento alla ASL di competenza.