

REGIONE CAMPANIA - Giunta Regionale - Seduta del 6 giugno 2008 - Deliberazione N. 979 - Area Generale di Coordinamento N. 20 - Assistenza Sanitaria – **DGR C737 del 6.06.2006 Integrazione e modifica "modalità di prescrizione, erogazione e controllo dei farmaci H specifici per malattie rare"**.

#### **Premesso che**

- la DGRC 1362 del 21.10.2005 prevede l'individuazione dei Presidi di Riferimento Regionali, nel rispetto delle prescrizioni previste dal DM del 18.11.2001 n. 279, per erogare prestazioni diagnostiche e terapeutiche ai pazienti affetti da malattie rare;
- la DGRC n. 737 del 6.6.2006 "Regolamentazione farmaci di fascia H: modalità di prescrizione ed erogazione; prevede, tra l'altro,;
  - i farmaci di fascia H specifici per il trattamento delle malattie rare e dell'HIV sono somministrati per tutto il ciclo di terapia dai Centri prescrittori.
  - di confermare i protocolli terapeutici già definiti con specifici atti deliberativi e riservare particolari farmaci ad una regolamentazione regionale diversa e specifica;
- la DGRC 234 del 16.02.2005 "DM 03.05.2003 Specialità medicinale orfana Tracleer – Bosentan monidrato- Individuazione Centri prescrittori prevede, tra l'altro, "di provvedere all'individuazione delle strutture.... per la prescrizione e distribuzione della specialità medicinale Tracleer bosentan monidrato";

**PRESO ATTO** della nota dell'AOU Federico II che segnala le difficoltà dei Centri di Riferimento Regionali per le malattie rare, ed in particolare dell'Azienda Universitaria, ad erogare i farmaci H specifici per le malattie rare per l'intero ciclo, anticipando eccessive risorse economiche ma soprattutto provocando gravissimi disagi ai pazienti che afferiscono da tutto il territorio regionale;

#### **CONSIDERATO** che

1. i Centri di riferimento regionali per le malattie rare sono stati individuati in relazione alle patologie, in numero limitato e per alcune patologie diffuse in Campania la AOU Federico II è la struttura di riferimento per tutto il territorio regionale
2. tale situazione reca grave disagio ai pazienti che sono costretti a recarsi lontano dal proprio domicilio, anche con cadenza settimanale, per la somministrazione del farmaco;

**RAVVISATA** la necessità di elaborare una diversa organizzazione delle attività che, pur prevedendo il permanere delle funzioni di diagnosi, prescrizione e controllo periodico in capo ai Centri di Riferimento Regionali individuati dalla DGRC 1362 del 21.10.2005, renda più agevole il trattamento terapeutico dei pazienti;

**PRESO ATTO** del documento tecnico denominato "modalità di prescrizione, erogazione e controllo dei farmaci H specifici per malattie rare", predisposto dal Gruppo di esperti per malattie rare che, al fine di evitare disagi ai pazienti, definiscono un percorso di collaborazione tra i Centri di Riferimento Regionale per le malattie rare e i Presidi Ospedalieri delle AASSLL che renda più agevole per i pazienti la somministrazione di farmaci H specifici per malattie rare lasciando inalterati i livelli di sicurezza;

**EVIDENZIATO** che il percorso citato prevede per la prescrizione, erogazione e controllo dei farmaci H specifici per malattie rare :

- Diagnosi, prescrizione e controllo periodico del Centro di Riferimento Regionale per le malattie rare ai sensi dell'atto deliberativo 1362 del 21.10.2005
- Erogazione I ciclo di 30 gg. a carico dello stesso Centro di Riferimento Regionale
- Somministrazione degli ulteriori cicli attraverso il Presidio Ospedaliero dell'ASL di provenienza del paziente in collaborazione con il Centro di Riferimento Regionale a seguito di conferma della prescrizione del farmaco dallo stesso Centro di Riferimento Regionale;

**RAVVISATA** l'opportunità:

- di prevedere un percorso specifico per la somministrazione dei farmaci H OSP 1 specifici per malattie rare, così come indicato nel documento tecnico
- di adottare la scheda regionale per la prescrizione, somministrazione e controllo dei farmaci H OSP 1 specifici per le malattie rare che garantisce il controllo periodico da parte del centro di riferimento
- di sottoporre i farmaci specifici malattie rare H OSP 2 alle modalità di prescrizione ed erogazione previste dall'atto deliberativo n. 737 del 6.6.2006 per i farmaci H OSP 2 compreso il Tracleer – Bosentan regolamentato dall'atto deliberativo n. 234 del 16.02.2005
- di garantire attraverso le farmacie ospedaliere il monitoraggio intensivo dei farmaci, ove previsto

**PRESO ATTO** della nota del 29.08.2006 del Settore Programmazione con la quale in merito dichiara “ lo scrivente Settore ritiene percorribile la soluzione prospettata dal Gruppo di Esperti” ;

**RITENUTO** pertanto:

- di modificare la DGRC 737 del 6.6.2006 approvando il documento tecnico denominato “modalità di prescrizione, erogazione e controllo dei farmaci H specifici per malattie rare”, predisposto dal Gruppo di Esperti per malattie rare - All. 1 che forma parte integrante della presente deliberazione
- di adottare la scheda regionale per la prescrizione, somministrazione e controllo dei farmaci H OSP 1 specifici per malattie rare - All. 2 che forma parte integrante della presente deliberazione
- L'uso del farmaco H OSP 1 specifico per malattie rare è riservato nell'ambito dei Presidi di Riferimento Regionali per malattie rare, individuati con DGRC 1362 del 21.10.2005 e n. 234 del 16.02.2005, in collaborazione con Presidi Ospedalieri delle AASSLL. Per la prescrizione del farmaco originata da un Centro extraregionale il paziente deve essere preso in carico dal Centro Regionale di Riferimento per le malattie rare.
- di sottoporre i farmaci specifici malattie rare H OSP 2 alle modalità di prescrizione ed erogazione previste dall'atto deliberativo n. 737 del 6.6.2006 per i farmaci H OSP 2 compreso il Tracleer – Bosentan regolamentato dall'atto deliberativo n. 234 del 16.02.2005
- le farmacie ospedaliere dovranno garantire il monitoraggio intensivo dei farmaci, ove previsto
- di modificare la DGRC 234 del 16.05.2005 secondo le indicazioni di cui sopra

**VISTI**

Il D.L.vo 502/92 e successive modificazioni ed integrazioni

Il D.L.vo 29/93 e successive modificazioni ed integrazioni

Il DPCM del 29/11/2001

**Propone** e la Giunta a voto unanime

**DELIBERA**

Per quanto esposto in narrativa e che qui si intende integralmente riportato

- di modificare la DGRC 737 del 6.6.2006 approvando il documento tecnico denominato “modalità di prescrizione, erogazione e controllo dei farmaci H specifici per malattie rare”, predisposto dal Gruppo di Esperti per malattie rare - All. 1 che forma parte integrante della presente deliberazione
- di adottare la scheda regionale per la prescrizione, somministrazione e controllo dei farmaci H OSP 1 specifici per malattie rare - All. 2 che forma parte integrante della presente deliberazione
- L'uso del farmaco H OSP 1 specifico per malattie rare è riservato nell'ambito dei Presidi di Riferimento Regionali per malattie rare individuati con DGRC 1362 del 21.10.2005 e n. 234 del 16.02.2005, in collaborazione con Presidi Ospedalieri delle AASSLL. Per la prescrizione del farmaco originata da un Centro extraregionale il paziente deve essere preso in carico dal Centro Regionale di Riferimento per le malattie rare.

- di sottoporre i farmaci specifici malattie rare H OSP 2 alle modalità di prescrizione ed erogazione previste dall'atto deliberativo n. 737 del 6.6.2006 per i farmaci H OSP 2 compreso il Tracleer – Bosentan regolamentato dall'atto deliberativo n. 234 del 16.02.2005
- le farmacie ospedaliere dovranno garantire il monitoraggio intensivo dei farmaci, ove previsto
- di modificare la DGRC 234 del 16.05.2005 secondo le indicazioni di cui sopra
- di inviare ai Settori Assistenza Sanitaria e Farmaceutico per quanto di rispettiva competenza
- di autorizzare la pubblicazione sul BURC comprensiva degli allegati.

Il Segretario

*D'Elia*

Il Presidente

*Bassolino*

## **Allegato 1**

### **Documento Tecnico elaborato dal Gruppo di Esperti per le Malattie Rare relativamente alle modalità di prescrizione ed erogazione per farmaci di fascia H per malattie rare.**

#### **Premessa**

Le malattie rare, e tra queste le malattie metaboliche congenite, rappresentano un problema rilevante per la Sanita'. Nonostante si tratti di malattie, come definisce l'aggettivo "rare", che si presentano nella popolazione generale con una bassa incidenza se considerate singolarmente, nell'insieme colpiscono una quota non trascurabile di soggetti. In molti casi queste malattie sono responsabili di handicap, sia fisici che neurologici.

A causa della loro rarità, nonostante il forte impatto che hanno sulla salute, le malattie metaboliche congenite e le problematiche cliniche ad esse correlate sono poco conosciute. Per questo motivo i pazienti affetti da queste malattie sono generalmente diagnosticati e seguiti presso centri ad alta specializzazione con specifica esperienza nel settore e con accesso a procedure diagnostiche di elevato livello.

Con Delibera della Giunta Regionale n.1362 del 21/10/2005 la Regione Campania ha identificato i Centri regionali di riferimento per le singole malattie rare.

Da pochi anni si sono resi disponibili approcci terapeutici innovativi per alcune di queste malattie, in particolare per le malattie da accumulo lisosomiale. I nuovi farmaci sono stati realizzati grazie a processi ad elevato contenuto tecnologico (in generale si tratta di enzimi ricombinanti) e per tale motivo sono estremamente costosi. Nella maggioranza dei casi tali approcci rappresentano l'unica opzione terapeutica disponibile per la cura dei pazienti.

Molte di queste terapie sono di recente introduzione e l'esperienza clinica sulla loro efficacia e' ancora limitata. Inoltre le terapie sono somministrate a pazienti eterogenei per fenotipo e genotipo. Per tali motivi e' fondamentale che la prescrizione ed il monitoraggio dell'efficacia della terapia, sia effettuato dai Centri di riferimento con specifica esperienza nelle singole malattie.

Secondo le disposizioni attualmente in vigore il percorso diagnostico terapeutico e' definito dalla "Regolamentazione per i farmaci in fascia H: modalità di prescrizione ed erogazione" Deliberazione N 737, riportata nel Bollettino Regionale N 28 del 6 giugno 2006.

Secondo tali disposizioni la somministrazione di farmaci specifici per il trattamento delle malattie rare deve essere effettuata dai Centri di riferimento per le suddette malattie, che sono pertanto centri prescrittori ed erogatori.

#### **Problematiche relative all'erogazione per farmaci di fascia H per malattie rare**

Le su indicate disposizioni pongono rilevanti problemi di natura organizzativa, soprattutto per farmaci innovativi da somministrare per via infusoriale in sedute settimanali o bisettimanali della durata di alcune ore e in regime ambulatoriale.

Infatti, l'Azienda Policlinico Federico II è stata individuata come Centro di riferimento nella Regione Campania per la totalità delle malattie metaboliche congenite trattate con farmaci "orfani" di fascia H, con l'eccezione della malattia di Gaucher che è trattata anche presso l'ASL NA1 (Ospedale Loreto Mare).

Di conseguenza, pressoché tutti i pazienti della regione affetti da malattie metaboliche congenite dovrebbero essere trattati presso questo unico Centro, con terapie che vanno effettuate per tutta la vita, in regime ambulatoriale (unico compatibile con la possibilità di ottenere la compensazione interaziendale per i costi di acquisto dei farmaci).

Questo tipo di organizzazione comporta gravi problemi, che sono divenuti evidenti in seguito all'attuazione delle disposizioni su indicate.

- disagi per i pazienti.

I pazienti (nel caso di pazienti pediatriche anche i loro familiari) sono costretti a recarsi settimanalmente o bisettimanalmente presso l'Azienda Ospedaliero - Universitaria Federico II, dai rispettivi luoghi di residenza. In molti casi i luoghi di residenza sono lontani da Napoli e comportano viaggi disagiati e dispendio di tempo. I sanitari dell'Azienda Ospedaliero - Universitaria Federico II hanno avuto modo di raccogliere in più occasioni le manifestazioni di tali disagi, ulteriormente sottolineate dalle associazioni di famiglie dei pazienti.

- un elevatissimo costo per il Centro prescrittore. Infatti, le terapie di tali malattie sono basate, come si è detto in precedenza, per la maggior parte sull'uso di enzimi ricombinati (quali il Cerezyme, l'Aldurazyme, il Fabrazyme, il Replagal, già in commercio in Italia da anni o il Myozyme, il Naglazyme e l'Elaprase, recentemente commercializzati) estremamente costosi (nell'ordine di 3-400000 euro/anno per singolo paziente adulto). L'accentramento dei costi su una unica Azienda si traduce in un carico finanziario insostenibile, che non è alleviato dalla possibilità di una successiva (spesso tardiva) compensazione interaziendale, sempre che il farmaco sia erogato in regime ambulatoriale.

- problemi organizzativi per l'Azienda Ospedaliero - Universitaria Federico II, legati all'afflusso settimanale o bisettimanale, peraltro in regime ambulatoriale, di numerosi pazienti bisognosi di prolungate terapie mediante infusione endovenosa di farmaci, nonché legati al carico amministrativo per ottenere dalla AA.SS.LL di residenza dei pazienti la compensazione per il costo dei farmaci stessi.

### **Proposta di un percorso diagnostico-terapeutico**

Alla luce della premessa e delle considerazioni precedentemente esposte la Commissione ritiene, che, pur confermandosi la necessità di mantenere il riconoscimento dei Centri prescrittori con la funzione di diagnosi, prescrizione e controllo periodico dell'efficacia della terapia, si debba affidare ai suddetti Centri anche la responsabilità di integrarsi con i presidi ospedalieri della ASL del luogo di residenza del paziente, che si farà direttamente carico dell'acquisto del farmaco, facendolo pervenire al presidio ospedaliero identificato per l'erogazione e preferibilmente localizzato nello stesso ambito territoriale.

Secondo tale modello, quindi, la diagnosi verrebbe posta presso il Centro di riferimento regionale con specifica competenza per le singole malattie (definiti dalla Delibera della Giunta Regionale n.1362 del 21/10/2005, v. sopra);

- la prescrizione verrebbe effettuata dal Centro di riferimento regionale, una volta definita la diagnosi, e in accordo con linee guida o raccomandazioni nazionali o internazionali;

- l'erogazione della terapia del farmaco e la somministrazione del farmaco verrebbero effettuate presso le AA.SS.LL. di residenza dei singoli pazienti;

- il monitoraggio della terapia ed eventuali variazioni delle prescrizioni, sulla base del raggiungimento degli obiettivi terapeutici, sarebbe effettuato sempre dal Centro di riferimento regionale, periodicamente.

I vantaggi di questo modello sarebbero i seguenti:

- evidente vantaggio per i pazienti e le loro famiglie, non più costrette a frequenti periodici viaggi a Napoli, per la somministrazione di farmaci che possono ricevere in presidi vicini al luogo di residenza;

- definizione chiara di un percorso diagnostico-terapeutico. In questo modo la prescrizione dei farmaci sarebbe a carico dei Centri che hanno una specifica competenza nel campo delle malattie metaboliche congenite;
- gli stessi Centri, avvalendosi di procedure diagnostiche di elevato livello, avrebbero l'opportunità di monitorare l'efficacia dei farmaci e di centralizzare le informazioni relative all'efficacia, favorendo in tal modo l'ulteriore acquisizione di conoscenze utili per l'ottimizzazione delle terapie.

Va infine sottolineato che le AA.SS.LL. di residenza dei pazienti non andrebbero incontro a un aggravio di costi, in quanto, secondo la normativa vigente, esse sono tenute a rimborsare al Centro di riferimento prescrittore i costi dei farmaci, somministrati in regime ambulatoriale e quindi suscettibili di compensazione interaziendale tramite file F. Per questo motivo le AA.SS.LL. non dovrebbero ricercare risorse aggiuntive, in quanto non verrebbero richieste ad esse nuovi esborsi.

Resta fermo il principio che, subito dopo la diagnosi, il Centro di riferimento procederà alla somministrazione del primo ciclo di terapia per la durata di un mese. Al contrario, a seguito dei controlli periodicamente effettuati, il Centro di riferimento, confermata l'indicazione al trattamento, riferirà comunque nuovamente il paziente all'ASL di appartenenza per il proseguimento della terapia, senza nessun ulteriore obbligo di somministrazione diretta del farmaco per ogni ciclo successivo al primo.

#### **Individuazione dei presidi ospedalieri delle ASL per la prosecuzione della cura e requisiti**

I presidi ospedalieri impegnati per la prosecuzione della cura sono individuati a cura dell'Azienda Sanitaria Locale in base a:

- disponibilita' di reparti di Pediatria nel caso di pazienti pediatrici o di medicina interna nel caso di pazienti adulti
- vicinanza al luogo di residenza dei pazienti
- integrazione in una rete regionale con i Centri di riferimento.

F.to

Prof. Generoso Andria – A.O.U. Federico II

Dott. Renato Pizzuti - Dirigente Settore Assistenza Ospedaliera

Dott.ssa Margherita De Florio - Dirigente Settore Farmaceutico

Dr. Salvatore Di Maio – A.O. Santobono-Pausilipon

Dr. Gioacchino Scarano – Resp. Scient. Registro Campano Malformazioni Congenite

## ALLEGATO N. 2

### MALATTIE RARE -SCHEDA REGIONALE PER LA PRESCRIZIONE DEI FARMACI H OSP 1 somministrati ambulatorialmente o erogati in forma diretta per uso domiciliare

Codice fiscale	dell'assistito:	_____		
Età:	_____	Sesso	M	F
ASL di appartenenza dell'assistito:	_____		Distretto:	_____
Regione:	_____			
Diagnosi: _____				
_____				
Codice esenzione: _____				
(allegato n. 1 al Decreto n. 279 del 18 Maggio 2001)				
Formulata in data: _____				
Medico specialista	<input type="checkbox"/>	Dr./Prof.	_____	
Codice Alfanumerico (Prov.N.Iscrizione Ordine) _____				
Centro di riferimento regionale - DGRC 1362 del 21.10.2005/DGRC 234 del 16.02.2005 -:				
_____				
<b>Programma terapeutico</b>				
<b>Farmaco</b>	<b>Forma farmaceutica</b>		<b>Posologia</b>	
Durata prevista del trattamento <sup>(2)</sup> : _____				
Prima prescrizione e somministrazione I ciclo: <input type="checkbox"/> Controllo periodico <input type="checkbox"/>				
Prosecuzione del trattamento a cura del P.O. dell'ASL di provenienza del paziente				
_____ Dr. _____				
_____ Tel. _____: <input type="checkbox"/>				
Data: _____				
Timbro e firma del medico prescrittore <sup>(3)</sup>			Timbro del Centro	
_____				
Vidimazione ASL di provenienza (Direzione sanitaria e/o Area Farmaceutica)				

(1) Medico di Medicina Generale o Pediatra di libera Scelta

(2) Non oltre 6 mesi. Per eventuale proseguimento della terapia redigere una nuova scheda

(3) I dati identificati del medico devono essere tali da poter permettere eventuali tempestive comunicazioni.

Ciascuna scheda dovrà essere compilata in 4 copie e inviata a cura del Centro di rif. regionale:

- Originale al paziente che provvederà ad informare il MMG
- Copia agli atti del Centro di riferimento regionale
- Copia al P.O. sopraindicato dell'ASL di provenienza del paziente
- Copia per Area Farmaceutica e/o Direzione Sanitaria ASL di provenienza del paziente