

Allegato B

Prescrizione, impiego ed erogazione di farmaci off-label e di fascia C per soggetti affetti da patologia rara.

PREMESSA

Una malattia è considerata rara quando colpisce non più di 5 persone ogni 10.000 abitanti. La bassa prevalenza nella popolazione non significa però che le persone con malattia rara siano poche, infatti il numero di malattie rare conosciute e diagnosticate oscilla tra le 7000 e le 8000 e colpiscono milioni di persone in Italia e addirittura decine di milioni in tutta Europa.

Quando si parla di malattie rare si deve ricordare che a causa della frammentazione delle singole patologie e della bassa frequenza con cui si presentano nella popolazione, anche quando la fisiopatologia è ben conosciuta, nella maggior parte dei casi non esistono farmaci specifici per la loro terapia. Altre volte, pur essendoci un trattamento disponibile, i pazienti non vi hanno accesso in quanto il farmaco non è disponibile sul territorio nazionale o è escluso dalle liste di rimborsabilità, perché generalmente impiegato nel trattamento di patologie di lieve entità e pertanto considerato non “essenziale” o “salvavita”.

Per i motivi sopra descritti un capitolo a parte nell'erogazione di farmaci off-label riguarda i pazienti affetti da malattia rara.

USO OFF-LABEL IN PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIA RARA

Nel caso di pazienti affetti da malattie rare la richiesta di autorizzazione all'impiego off-label di un medicinale dovrà essere effettuata esclusivamente da uno dei presidi accreditati di cui alle DGR 2725/2003, 1427/2005 e 1480/2007, in quanto tali presidi sono stati individuati sulla base della maggior esperienza assistenziale e quindi sulla competenza nel seguire le problematiche della patologia rara e nell'offrire corrette indicazioni per un'adeguata presa in carico della persona.

Le unità operative appartenenti ai suddetti presidi provvedono a presentare richiesta alla UO di farmacia della struttura stessa.

Nella richiesta dovranno essere indicati:

1. assenza di valida alternativa terapeutica;
2. impossibilità di richiedere il farmaco ai sensi del D.M. 08.05.2003;
3. impiego conforme a lavori apparsi su pubblicazioni scientifiche accreditate in campo internazionale e disponibilità di dati di sperimentazioni cliniche di fase seconda, sufficienti per formulare un parere favorevole sull'efficacia e la tollerabilità del medicinale richiesto (da allegare alla richiesta);
4. consenso informato del paziente ovvero dell'esercente la patria potestà in caso di minore o del tutore in caso di paziente interdetto o inabilitato;
5. assunzione di responsabilità da parte del medico prescrittore;
6. regime di erogazione (ricovero ordinario, day hospital, prestazione ambulatoriale);

La UO di farmacia verifica se sussistono tutti i requisiti per l'erogazione del farmaco off-label a carico del SSR e inoltra la documentazione corredata dal parere,

favorevole o meno, alla Direzione Sanitaria, che provvede, entro 5 giorni dal ricevimento della documentazione, a comunicare il parere all'unità operativa richiedente e, per conoscenza alla farmacia della struttura, che erogherà il trattamento.

Potranno essere prescritti a favore di pazienti affetti da malattie rare anche medicinali appartenenti alla fascia C, qualora i presidi accreditati certifichino che tale intervento è indispensabile e in assenza del quale ci potrebbe essere pericolo di vita per il paziente o un aggravamento dello stato di malattia. Nel caso di impiego off-label trova applicazione quanto precedentemente descritto, fermo restando la necessità almeno di dati favorevoli di sperimentazioni cliniche di fase seconda attestanti l'efficacia del trattamento.

Per casi di natura dubbia o che necessitino di ulteriori approfondimenti il Centro di Coordinamento della Rete Regionale per le Malattie Rare potrà fornire supporto scientifico ai presidi accreditati, per una valutazione conclusiva.

Monitoraggio del trattamento farmacologico

Il medico prescrittore deve garantire un monitoraggio puntuale sull'andamento del trattamento per consentire eventuali approfondimenti da parte della Direzione Sanitaria e/o della commissione per il PTA/PTAV. Dovrà essere garantita un'opportuna informazione del trattamento in atto anche al medico curante. In caso di interruzione del trattamento dovrà essere fornita tempestivamente una relazione clinica dettagliata alla Direzione Sanitaria.

Modalità di erogazione

L'erogazione di farmaci di fascia C o per indicazioni off-label in regime di ricovero, day-hospital o prestazione ambulatoriale rimane a carico della azienda sanitaria che genera la prescrizione.

Per quanto riguarda invece i trattamenti che possono essere effettuati al domicilio del paziente nel caso in cui l'accesso al centro prescrittore avvenga esclusivamente per il ritiro del farmaco, l'erogazione sarà effettuata direttamente dall'Azienda per i Servizi Sanitari di residenza del paziente. Anche in questo caso il medico prescrittore è responsabile a tutti gli effetti del trattamento e dovrà garantire un monitoraggio del paziente, per quanto concerne efficacia e tollerabilità del trattamento stesso.

Pazienti extra-regionali

Relativamente ai pazienti extra-regionali, la prescrizione di farmaci di fascia C o per indicazioni off-label in regime ambulatoriale o per uso al domicilio del paziente potrà essere effettuata solo previo accordo con l'Azienda territoriale di residenza del paziente, che si farà carico dei relativi oneri economici o della dispensazione del farmaco.