Approcci

Molecole

Vettori

Combinazioni

Protocolli

Sostitutori o supplementatori di funzioni

Terapie di supporto



Trattamenti innovativi



Come rendere accessibile nella pratica corrente a tutte le persone che ne necessitano l'innovazione teoricamente disponibile



Come dare concretamente nel momento in cui servono i trattamenti clinicamente rilevanti



Trattamenti indispensabili per vivere di più e meglio

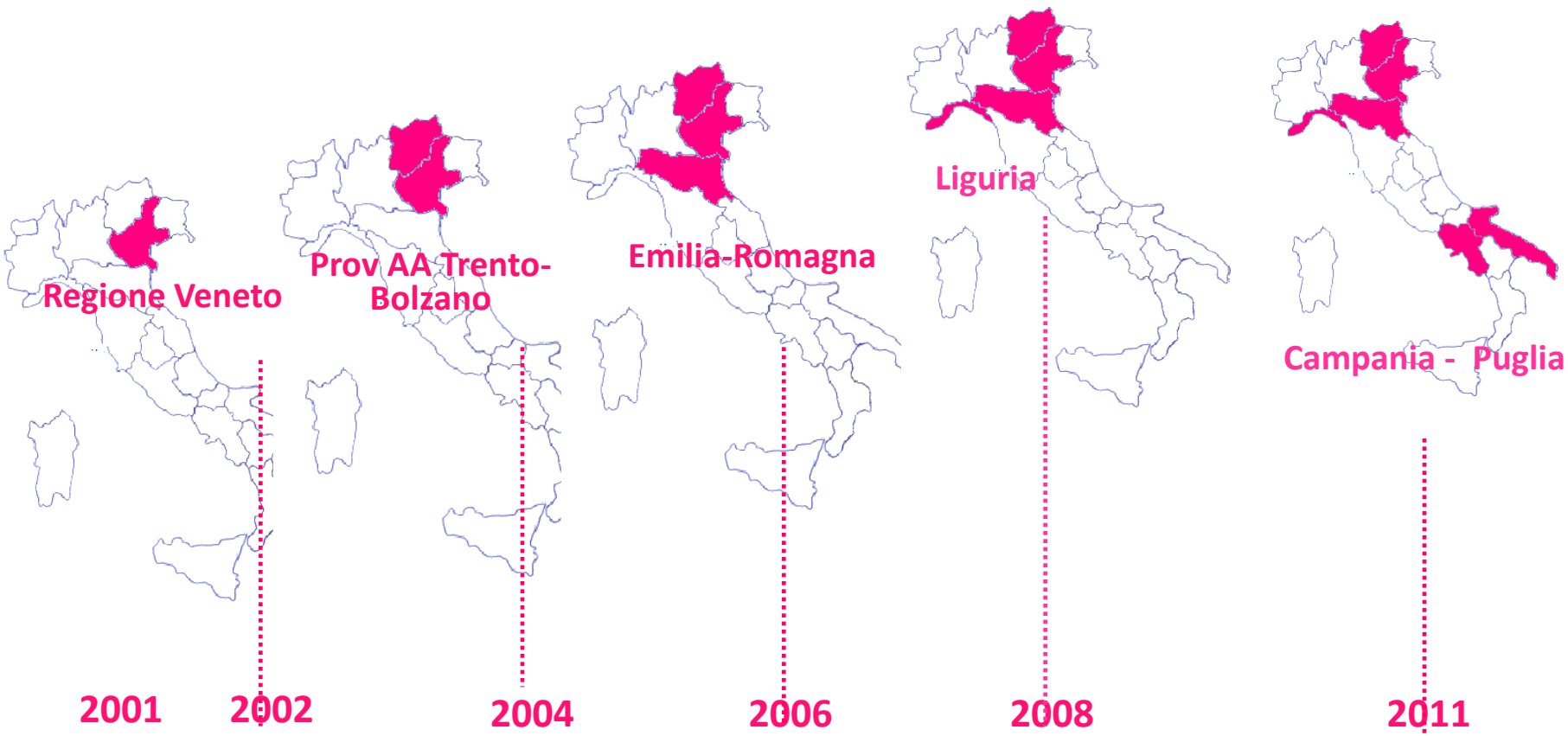
- Ragionevole conoscenza del risultato (efficace e sicurezza)



- Presente nel mercato
- Conosciuto dai prescrittori
- Accettabile per i pazienti
- Sostenibile per i servizi sanitari
- Organizzativamente accessibile
- Monitorabile

Popolazione monitorata (milioni di abitanti)

4.9 | 5.9 | 10.3 | 11.9 | 21.8

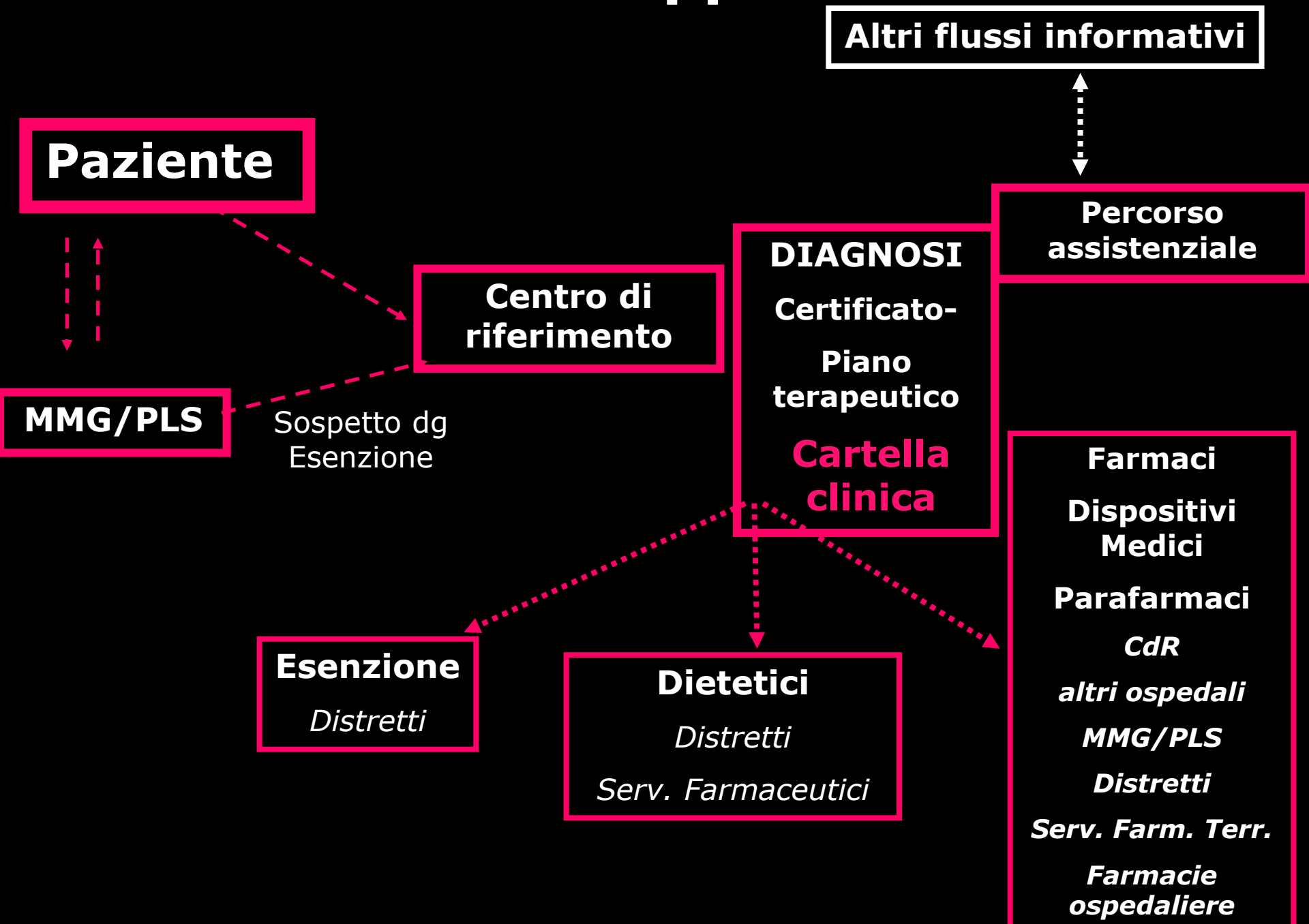


DM 279/2001

21.772 pz certificati dai Centri di expertise per le MR del Veneto

49.323 pz certificati nell'intera area monitorata

Come funziona? Approccio modulare



49.000 pazienti

3.500 professionisti

701 nodi della rete



Numeri del sistema

Quali trattamenti?

- Farmaci orfani
- Tutti gli altri farmaci
- Trattamenti off-label
- Dietetici
- Parafarmaci
- Farmaci esteri
- Galenici magistrali
- Dispositivi medici
- Protesi ed ausili
- Altri trattamenti (Riabilitazione-procedure chirurgiche)

IL SI coinvolge diversi attori, giunzioni e luoghi

Prescrizione
Centri di expertise

Erogazione
Servizi farmaceutici ospedalieri e territoriali

Somministrazione
Centri di Exp
Altri ospedali
domicilio

TRE livelli di erogazione dei benefici previsti

1) LEA

2) INTEGRAZIONI regionali per entità nosologica, basate sui PROTOCOLLI

3)INTEGRAZIONI per specifiche esigenze individuali

Fruibili se all'interno della rete di assistenza e attraverso il sistema informativo

metodo

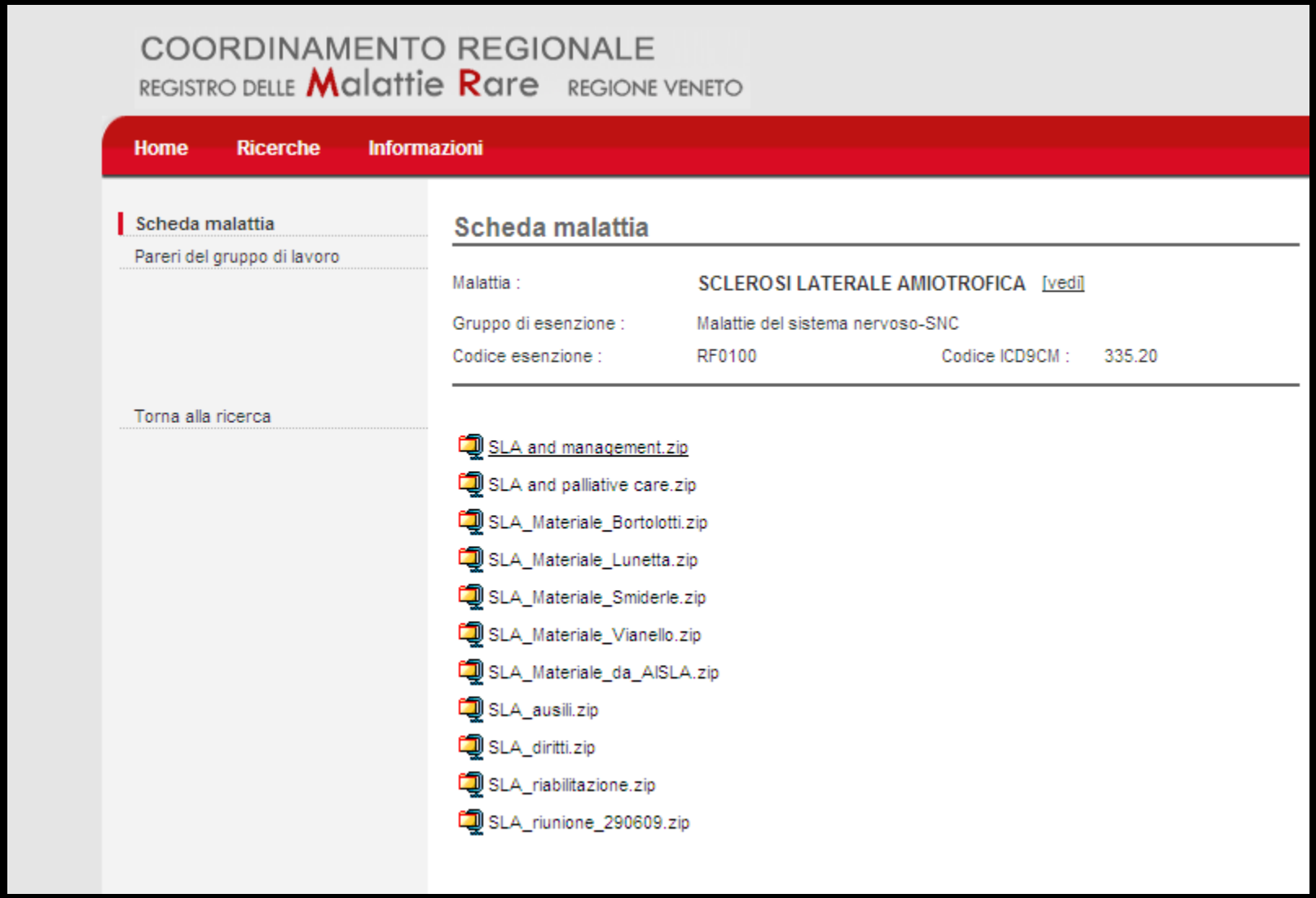
Revisione sistematica letteratura per patologia e per principio attivo *(attraverso il metodo EBM)*

Consenso tra Centri della rete per specifiche patologie e Servizi Farmaceutici

Delibere congiunte di Giunta integrazione ai LEA



Piattaforma ad uso Gruppi di Lavoro



TUTTI I CONTENUTI PRESCRITTIVI E I PASSI DEL PERCORSO ASSISTENZIALE COMPRESO IL MONITORAGGIO CLINICO E L'ACCESSO AI BENEFICI IMMEDIATAMENTE DISPONIBILI NEL SISTEMA

Malattie Neurologiche
Metaboliche ad interessamento neurologico
Metaboliche
Ematologiche
Genito-urinario

GdL conclusi

1954 malattie esaminate
359 PA esaminati
di cui approvati **144**



Modulo Piano Terapeutico

Prescrizione

Facilitare la prescrizione: fascia del farmaco trasparente al medico prescrittore, moduli predefiniti per farmaci galenici ed orfani, acquisizione consenso informato per farmaci off-label, relazione per farmaci esteri ed extra-LEA

Erogazione

Vicina al luogo di vita del paziente e/o al Centro prescrittore secondo necessità, monitoraggio clinico e controllo della spesa farmaceutica regionale

Somministrazione

Vicina al luogo di vita del paziente e/o al Centro prescrittore secondo necessità, stretto monitoraggio di efficacia e sicurezza del farmaco nella pratica clinica

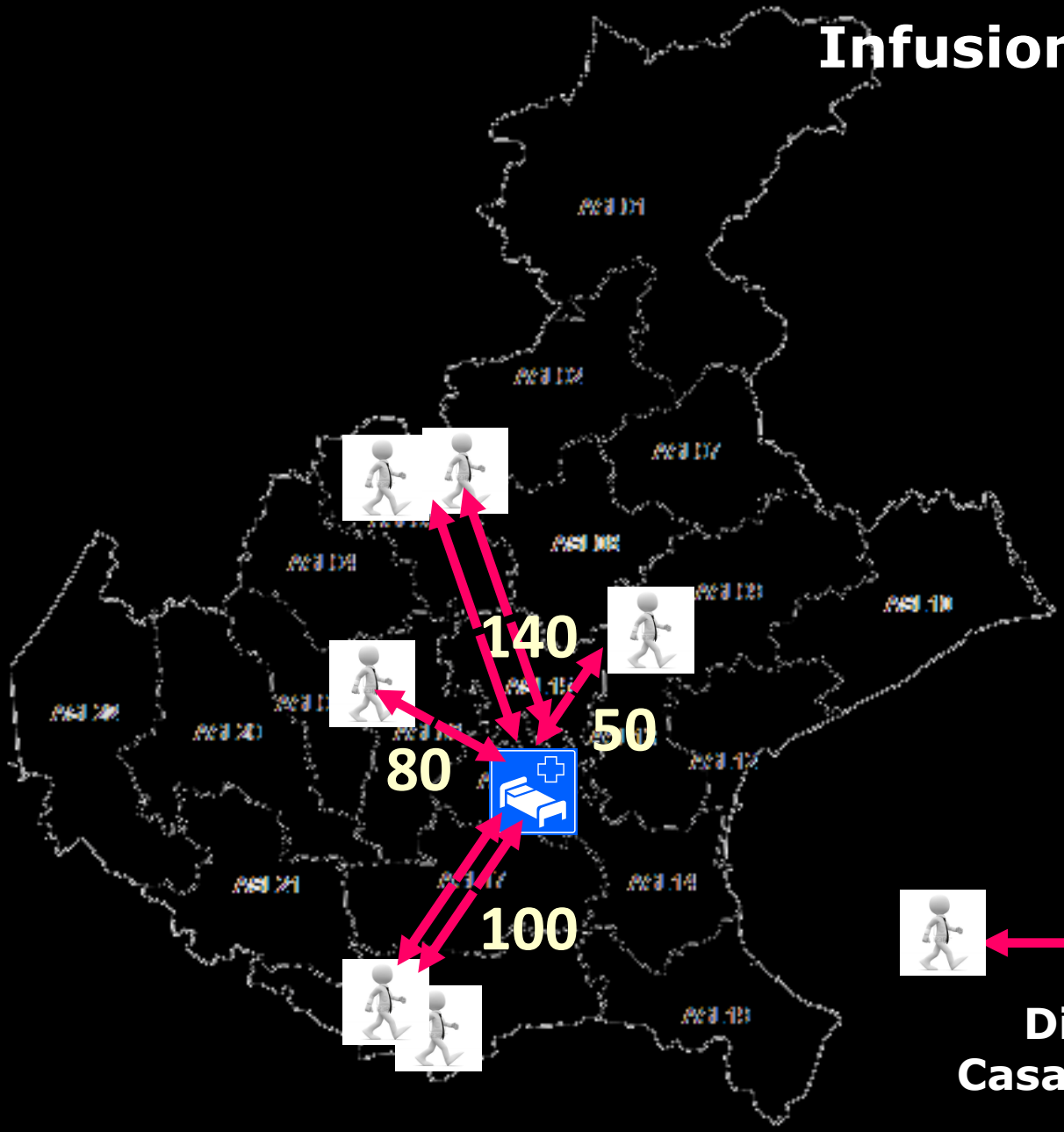
Esempio: MPS I e laronidase (Aldurazyme®)

Regione Veneto

Infusione: 1vv/sett



31.700 Km/anno

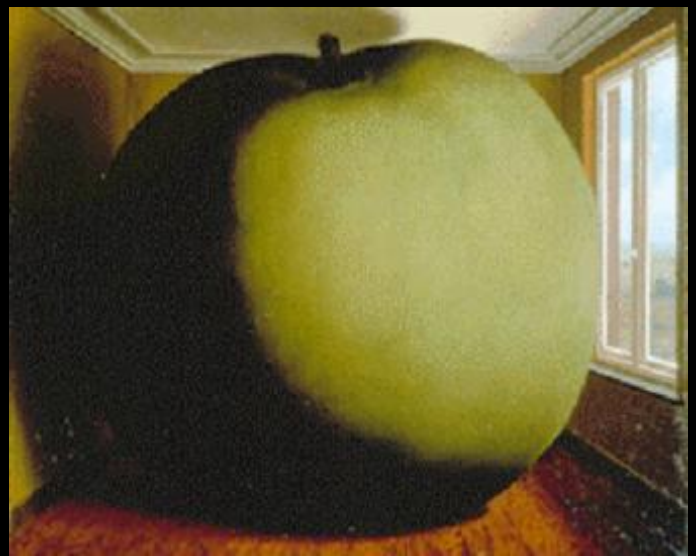


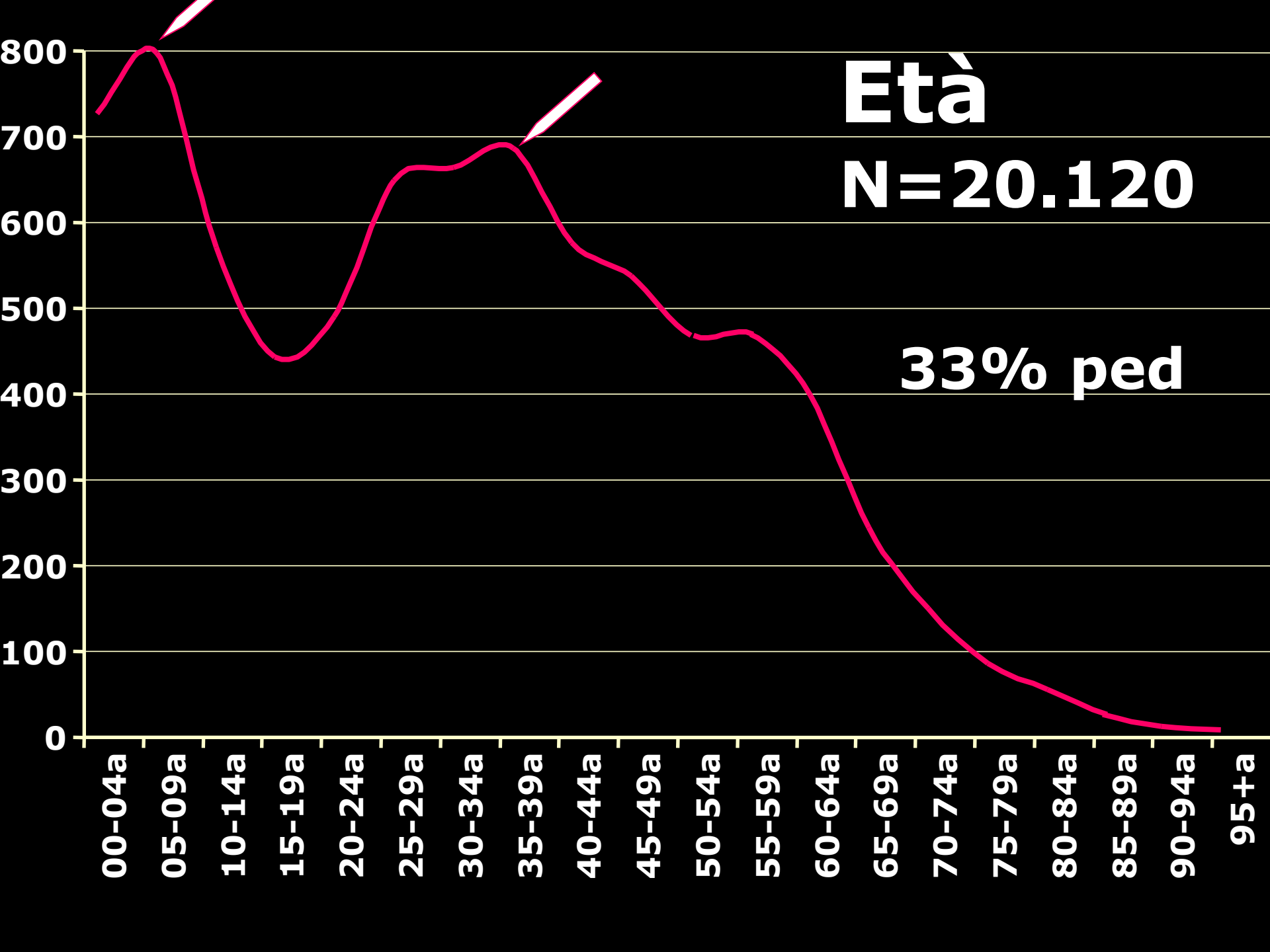


Distanza in KM
Casa - C di expertise

Stima delle prevalenza grezza dei malati rari

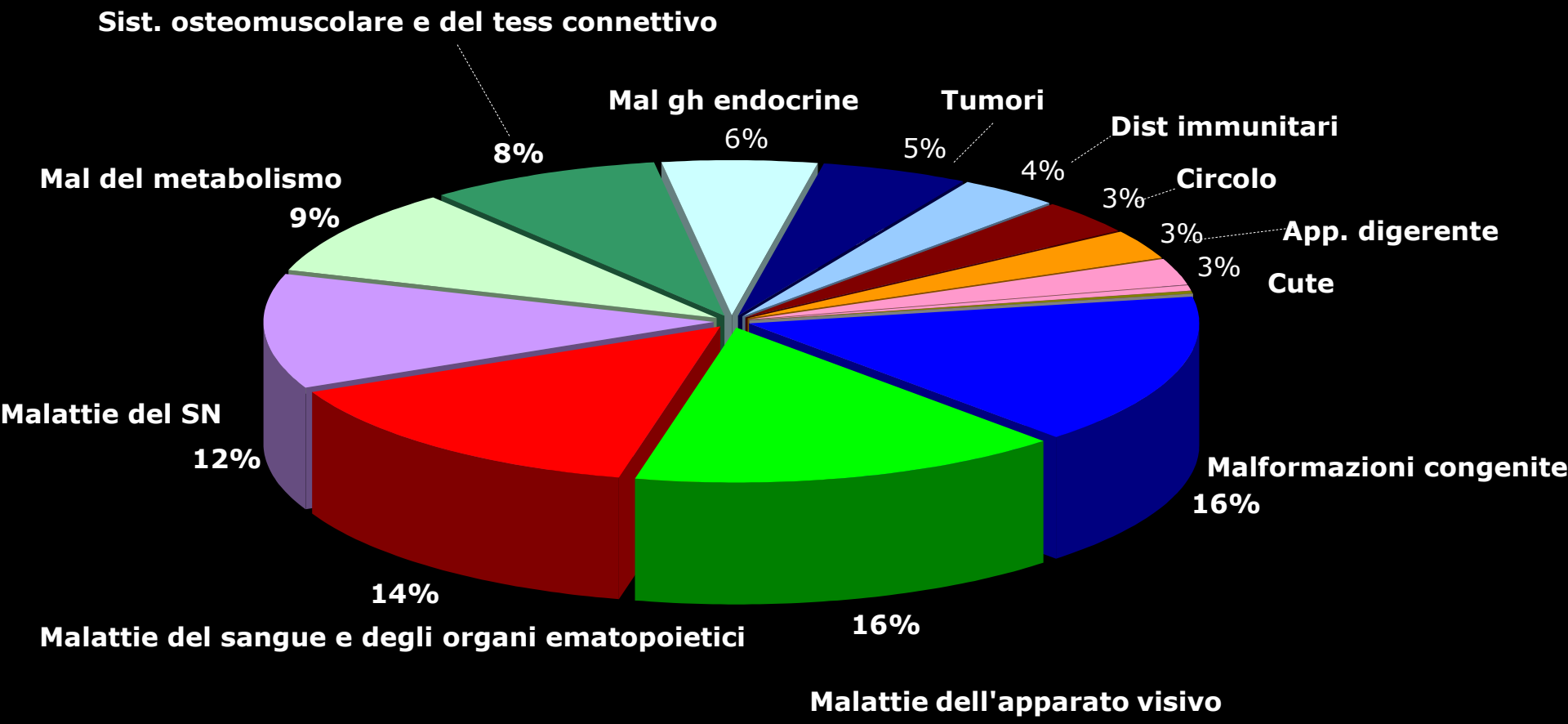
3.53-5.00 X 1.000 abitanti




Età
N=20.120
33% ped
800
700
600
500
400
300
200
100
0
00-04a
05-09a
10-14a
15-19a
20-24a
25-29a
30-34a
35-39a
40-44a
45-49a
50-54a
55-59a
60-64a
65-69a
70-74a
75-79a
80-84a
85-89a
90-94a
95+a

20.120

Pazienti tutte le età



Dati Registro MR

Vivere con DISABILITA’

10% della totale spesa regionale per i programmi di riabilitazione

trattamenti di riabilitazione per MR

48% DI PAZIENTI MR

Farmaci Orfani

N pazienti eleggibili al trattamento con orfani

122/ per milione ab.

N pazienti attualmente trattati con orfani autorizzati

31/ per milione ab. (25.5%)

(>50% nel caso dei pazienti affetti da malattie lisosomiali)

Usi off-label identificati nei PTP (per indicazioni, età, modalità d'uso non autorizzate)

13% delle prescrizioni di orfani

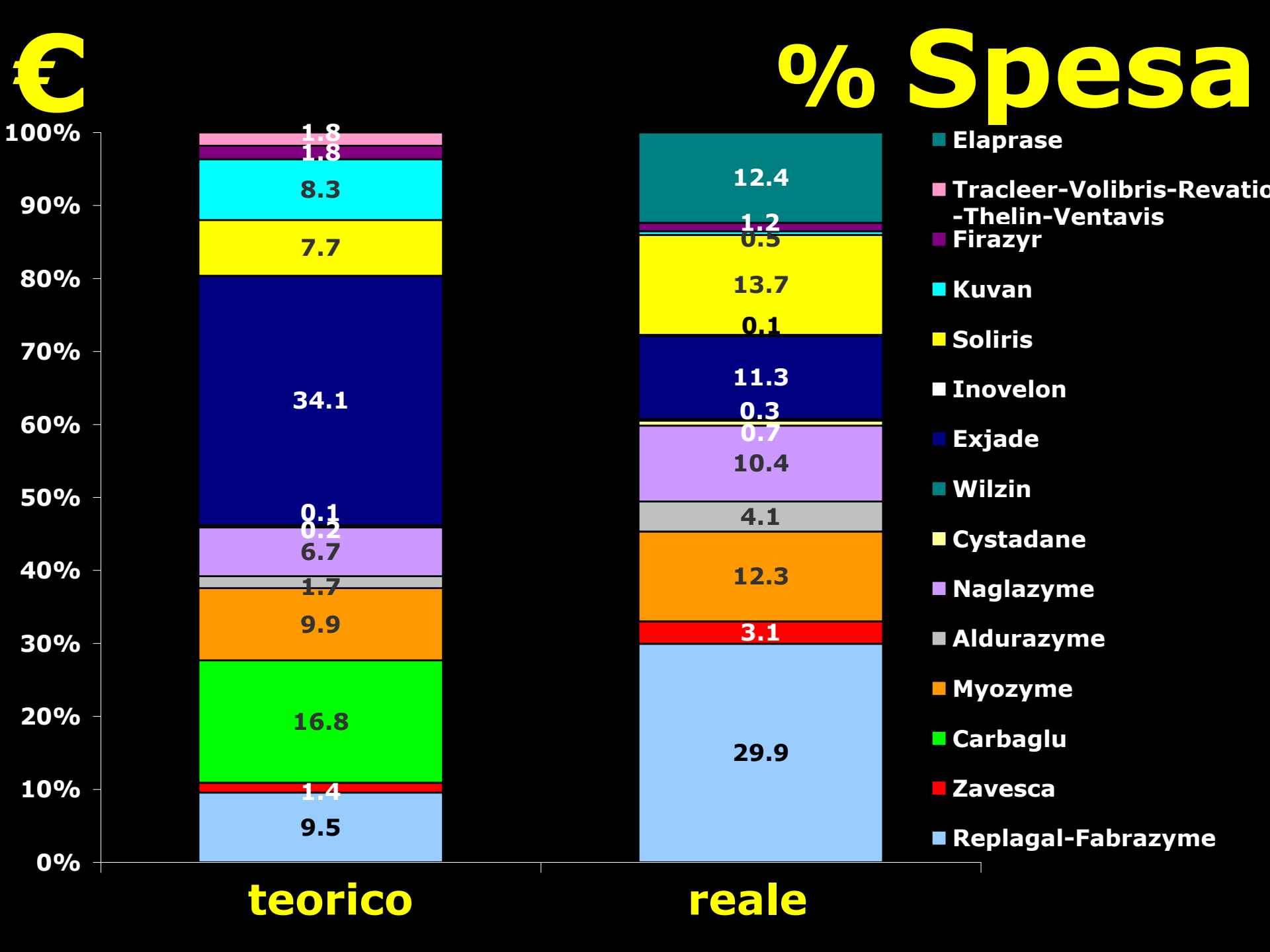
Impatto di spesa Farmaci Orfani

10 milioni € /anno/per mln ab.

(escludendo usi off-label in altre condizioni non rare)



2,5 milioni € / anno/per mln ab.
per usi off-label + FO disponibili
solo nel mercato estero


€
% Spesa
100%
90%
80%
70%
60%
50%
40%
30%
20%
10%
0%
1.8
1.8
8.3
7.7
34.1
0.1
0.2
6.7
1.7
9.9
16.8
1.4
9.5
12.4
1.2
0.5
13.7
0.1
11.3
0.3
0.7
10.4
4.1
12.3
3.1
29.9
teorico
reale
Elaprase
Tracleer-Volibris-Revatio
-Thelin-Ventavis
Firazyr
Kuvan
Soliris
Inovelon
Exjade
Wilzin
Cystadane
Naglazyme
Aldurazyme
Myozyme
Carbaglu
Zavesca
Replagal-Fabrazyme

Non solo farmaci orfani
Altri farmaci ad alto costo

Gruppo terapeutico	ATC	Alcuni esempi	Uso in "real world"
Fattori della coagulazione del sangue	B02BD	vari	
Sostanze chelanti del ferro	V03AC	deferiprone	
Anticorpi monoclonali	L01XC	bevacizumab	
		rituximab	
Sostanze ad azione immunosoppressiva selettiva	L04AA	sirolimus	
		leflunomide	
		acido micofenolico	
Inibitori del fattore alfa di necrosi tumorale (TNF-α)	L04AB	etanercept	
		infliximab	
		adalimumab	
Inibitori dell'interleuchina	L04AC	canakinumab	
		anakinra	
Altre sostanze ad azione immusoppressiva	L04AX	azatioprina	
		thalidomide	
		methotrexate	
		lenalidomide	
Immunoglobuline, umane normali	J06BA	Ig uso intramuscolare	
		Ig uso endovenoso	
Interferoni	L03AB	interferon alfa-2a	
		interferon alfa-2b	
		peginterferon alfa-2a	
Altri preparati antianemici	B03XA	eritropoietina	
Somatropina e agonisti della somatropina	H01AC	somatropina	
Altri antineoplastici	L01XX	bortezomib	
		idroxicarbamide	
Ormone anticrescita	H01CB	octreotide	
		somatostatina	
		lanreotide	
Analoghi dell'ormone liberatore delle gonadotropine	L02AE	triptorelina	



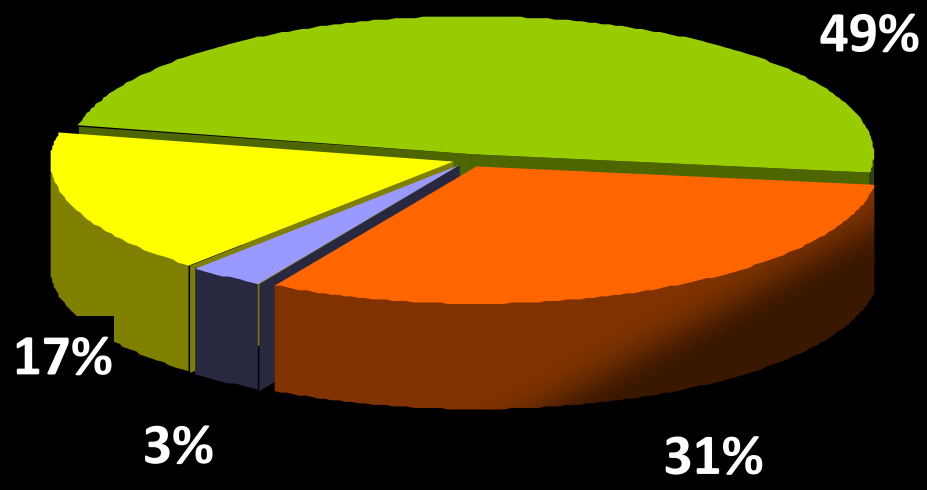
ON-LABEL



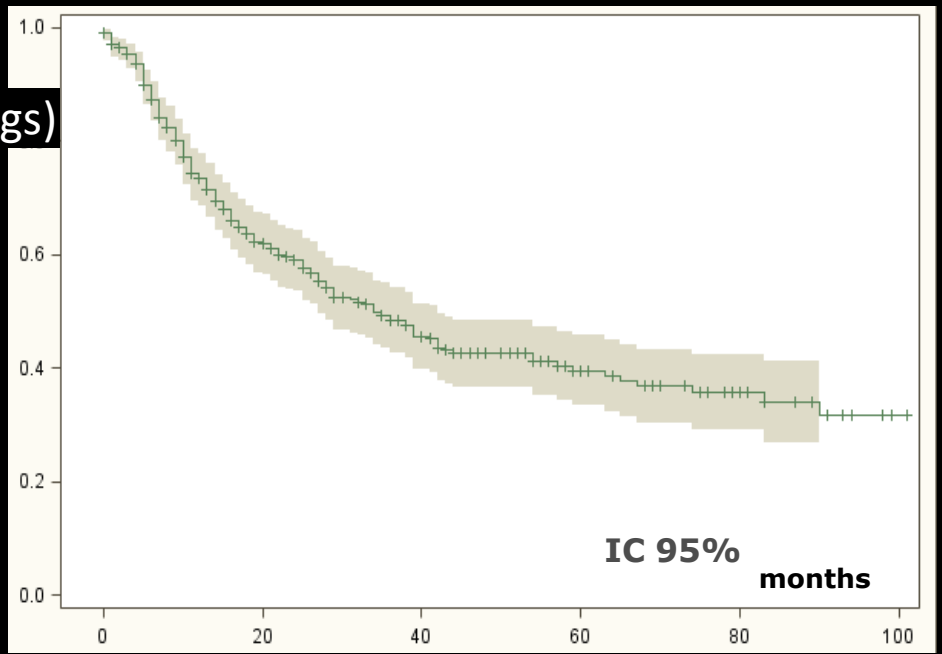
OFF-LABEL

sia in commercio in Italia sia importati dall’estero

Prescrizioni a pazienti con SLA

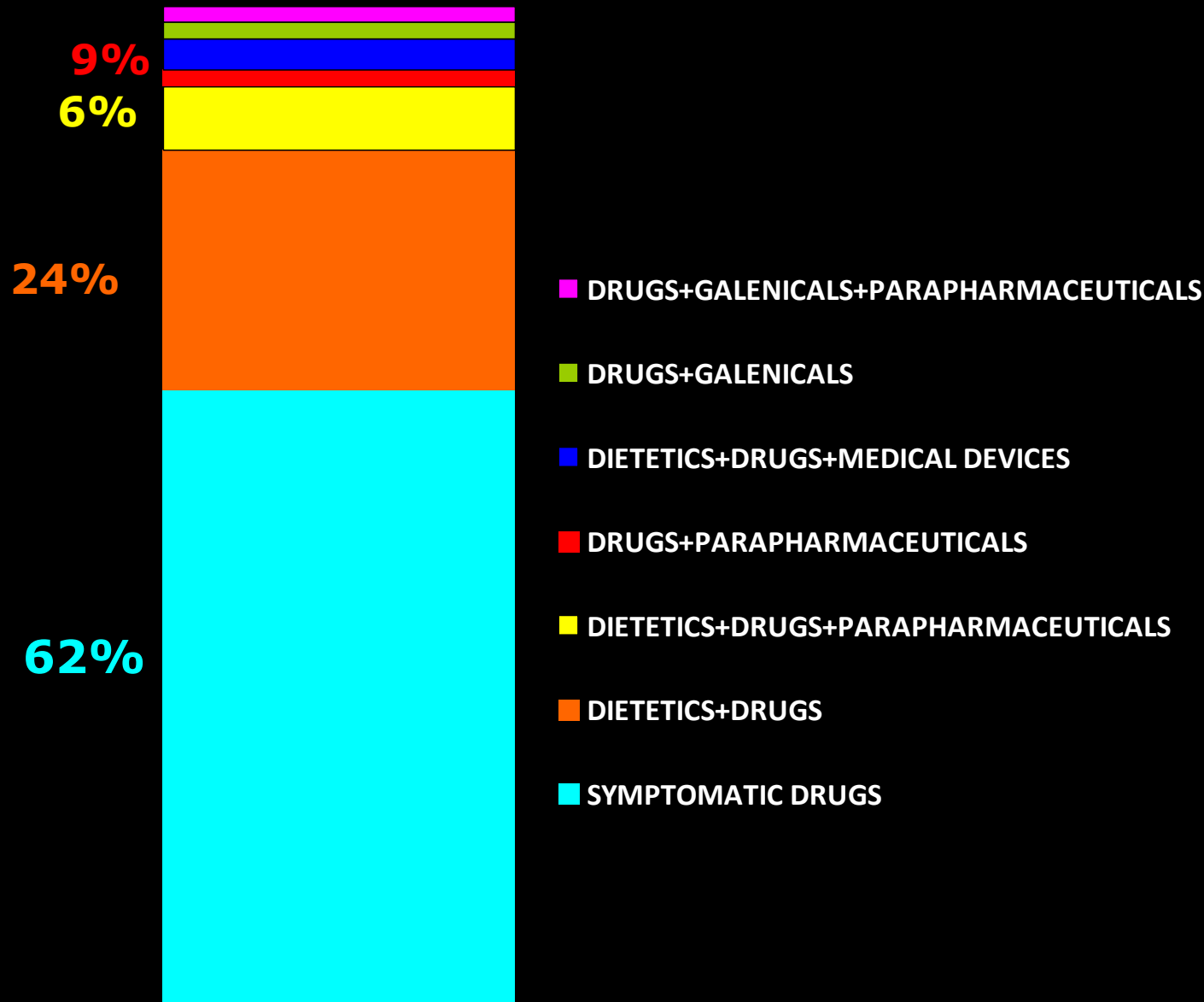


Curva sopravvivenza



Exhaustivity: monitored treatments

42% of patients treated with OD receive co-treatments



Spesa per farmaci aggiuntivi

115 milioni

23 milioni X 1,000,000 ab

7% della spesa farmaceutica totale della Regione Veneto

Off-label 1,275,000

Per milione di abitanti



Dinamicità

9023 prescrizioni on-line

Il 50% ha avuto un cambiamento del PTP nei primi 6 mesi dell'anno



Gravi difficoltà



Possibilità di prescrivere

Uso compassionevole e uso off label

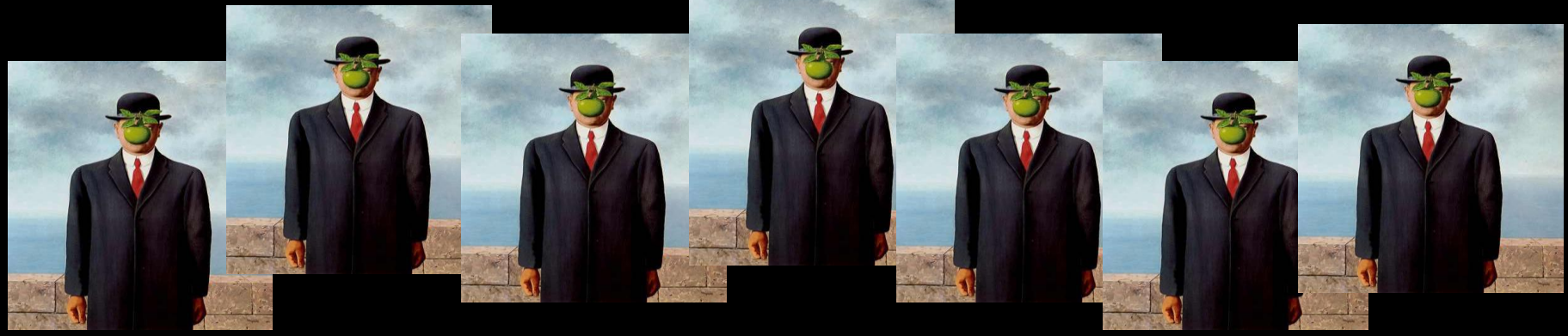
Importare farmaci dall'estero

Selezionare i prescrittori, organizzare e monitorare il sistema

Garantire gli extraLEA

Sostenere l'impatto economico

Valutare l'appropriatezza come vantaggio clinico



Coordinamento

Registro Malattie Rare del Veneto

e-mail: malattierare@pediatria.unipd.it

Tel. 049 8215700



http://malattierare.regione.veneto.it