STATI GENERALI DELLE MALATTIE RARE

UN ANNO DOPO

-DIRITTO ALLA SALUTE E SOSTENIBILITÀ DEL SISTEMA-

Roma, 18 dicembre 2013

CAMERA DEI DEPUTATI

Palazzo Marini – Sala della Mercede

Le attività della Società Italiana di Farmacia Ospedaliera

Dr.ssa Antonietta Coratti

Farmacista SIFO -Gruppo AREA MALATTIE RARE-

LE MALATTIE RARE

DEFINIZIONE

- PREVALENZA < 5 CASI/10.000 ABITANTI NELL'INSIEME DELLA POPOLAZIONE COMUNITARIA (UNIONE EUROPEA)
- LE PATOLOGIE RARE SONO CIRCA 7.000/8.000

CARATTERISTICHE

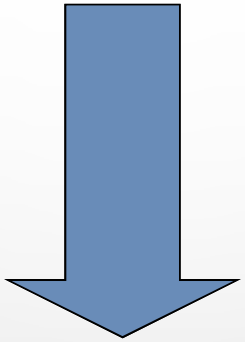
- 80% BASE GENETICA
- 20% BASE MULTIFATTORIALE (FATTORI AMBIENTALI, ALIMENTARI ETC.)
- ETEROGENEE PER ETÀ DI INSORGENZA, EZIOPATOGENESI E SINTOMATOLOGIA; POSSONO INTERESSARE UNO O PIÙ ORGANI E APPARATI DELL'ORGANISMO.

DM 18 maggio 2001 N° 279

IL QUADRO COMPLESSIVO CONFIGURA LE MR COME UN GRANDE TEMA DI SANITÀ PUBBLICA

- Le MR richiedono competenze mediche esperte; necessitano di progressi nella ricerca scientifica ed in particolare della ricerca clinica
- La bassa prevalenza si accompagna spesso a scarse conoscenze, ciò causa ritardo nella diagnosi e nel corretto trattamento
- Le MR presentano numerosi quesiti, molto complessi legati a: organizzazione sanitaria, ricerca, etica, metodi per il monitoraggio…

MALATTIE RARE



FARMACO ORFANO

Il Farmaco Orfano

"Il farmaco orfano è quel prodotto potenzialmente utile per trattare una MR (risponde a un bisogno di salute pubblica) ma che non ha un mercato sufficientemente ampio per ripagarne le spese del suo sviluppo"

1983 TH ALTHEIUS

- **Prodotti destinati alla diagnosi, prevenzione e trattamento di MR**
  - **Prodotti ritirati dal mercato per ragioni economiche o farmacologiche**
    - **Prodotti non sviluppati**

- sia perché derivano da un processo di ricerca non brevettabile;
- sia perché riguardano mercati importanti ma non solvibili

COSA STA FACENDO SIFO oltre alla collaborazione con l'associazione Dossetti?

a. Spazio di incontro con il cittadino: pagina sito SIFO (www.sifoweb.it) dedicata al dialogo tra il cittadino/paziente e il farmacista afferente alla SIFO

b. Progetto inserimento di un'informativa sulle malattie rare da pubblicare nello spazio dedicato al paziente

c. Istituzione Osservatorio Nazionale MR

d. Istituzione del CODICE di GALENICA SIFO on-line con modalità di preparazione validate di farmaci galenici (anche orfani)

e. Progetto di pubblicazione sul sito SIFO di un elenco di laboratori galenici del SSN che producono farmaci orfani

Spazio di Incontro Cittadino-Farmacisti SIFO

Per il cittadino/paziente è importante poter soddisfare:

- Diritto all'informazione: informazioni corrette e di qualità, per poter comprendere al meglio il proprio stato di salute
- Diritto alla scelta: poter scegliere consapevolmente tra le possibili soluzioni
- Empowerment del paziente: curarsi in maniera più consapevole

Spazio di Incontro Cittadino-Farmacisti SIFO

Il cittadino potrà fare riferimento ad un esperto (referente qualificato) per recepire informazioni sul corretto uso del farmaco, DM, corretti stili di vita o alimentari e sulle modalità di accesso all'assistenza sanitaria farmaceutica pubblica

Il farmacista potrà fare riferimento all'esperienza di chi utilizza i farmaci o DM in prima persona declinando la propria attività non solo alle esigenze del paziente ma anche ad aspetti di natura etica, economica e sociale

Cittadini e Farmacisti attraverso questo dialogo possono contribuire a migliorare la gestione (l'accesso e l'utilizzo) del «bene-farmaco» e l'assistenza farmaceutica

OSSERVATORIO NAZIONALE
Malattie Rare

1. **Survey**

- mappatura assetto regionale e dei diversi modelli organizzativi realizzati per rispondere alle esigenza di gestione MR, (es., modalità di erogazione delle specialità medicinali nelle diverse strutture);
- individuazione delle specifiche criticità emerse nelle diverse realtà e le soluzioni adottate
- il grado di conoscenza per comprendere il bisogno formativo sull'argomento

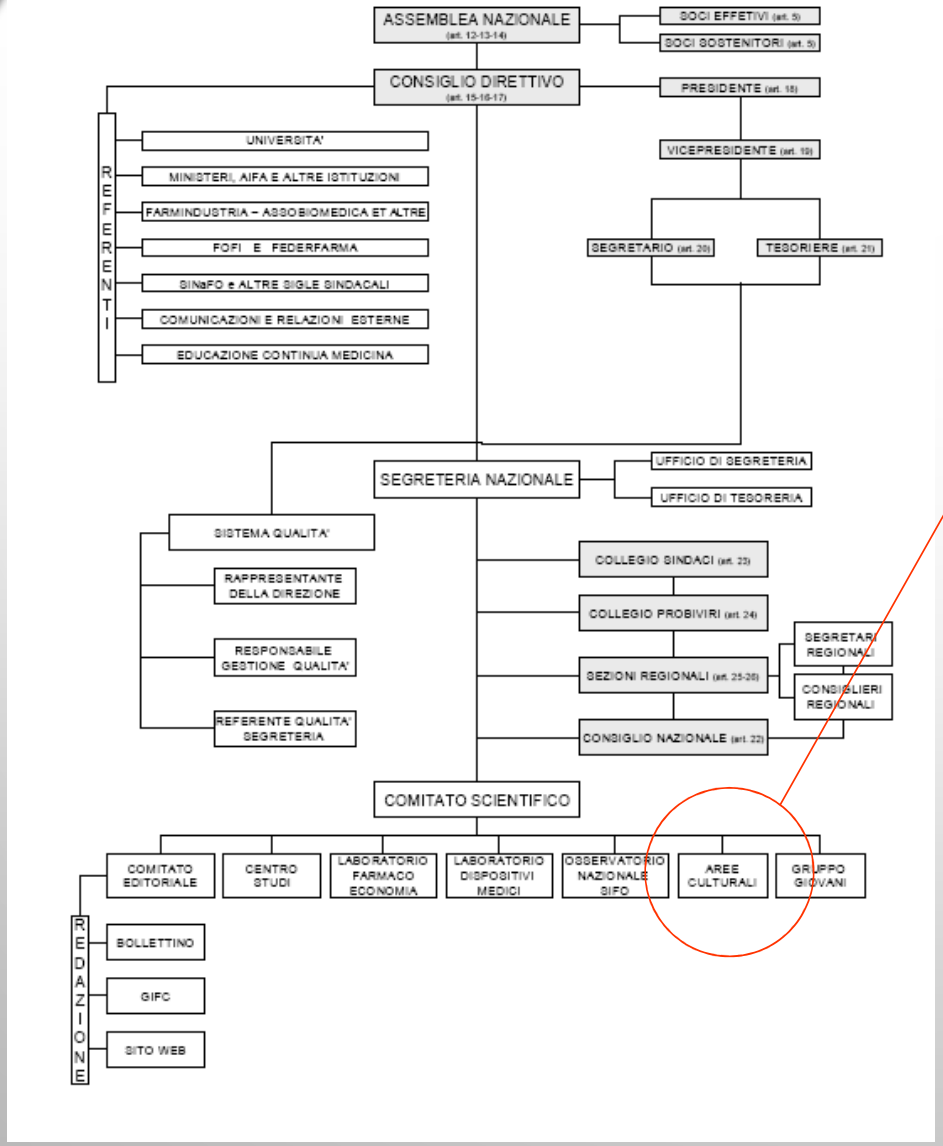
OSSERVATORIO NAZIONALE
Malattie Rare

2. **Raccolta ed Elaborazione dati**

3. **Programma di formazione che preveda lo sviluppo di temi specifici quali:**

- Normativa nazionale e regionale
- Modelli organizzativi nelle ASL e/o nelle Aziende Ospedaliere
- Definizione e criteri per Piani terapeutici /PDTA

4. **Consensus conference ed elaborazione di un Position Paper alla luce di quanto appreso/emerso dal progetto**



18 Aree SIFO scientifico-culturali

Area Galenica Clinica
+
Area Malattie Rare
dal 2012

Area Galenica Clinica

Galenica strumento di risposta a problemi clinici non risolvibili dall'industria

Realizzazione di un codice on-line di Galenica Clinica

Schede di medicinali con elevata valenza clinica

- farmaci orfani
- dosaggi pediatrici
- ecc

Codice di galenica clinica e Prontuario galenica pediatrica SIFO

CODICE DI GALENICA CLINICA SIFO

Manuale della qualità
Gestione della documentazione
Gestione del personale
Gestione NC, AC e AP
Pulizia cappe a flusso laminare
Convalida di processi produttivi sterili
Allestimento di galenici in area sterile
Audit Interni
Preparazioni validate SIFO

(CGS)
Prontuario della Galenica Pediatrica
(PGP)

La creazione di un Codice della Galenica on line nasce dall'esigenza di condividere, da parte delle farmacie ospedaliere e delle aziende sanitarie territoriali le formulazioni galeniche che costituiscono una grande porzione del patrimonio della professione del farmacista.

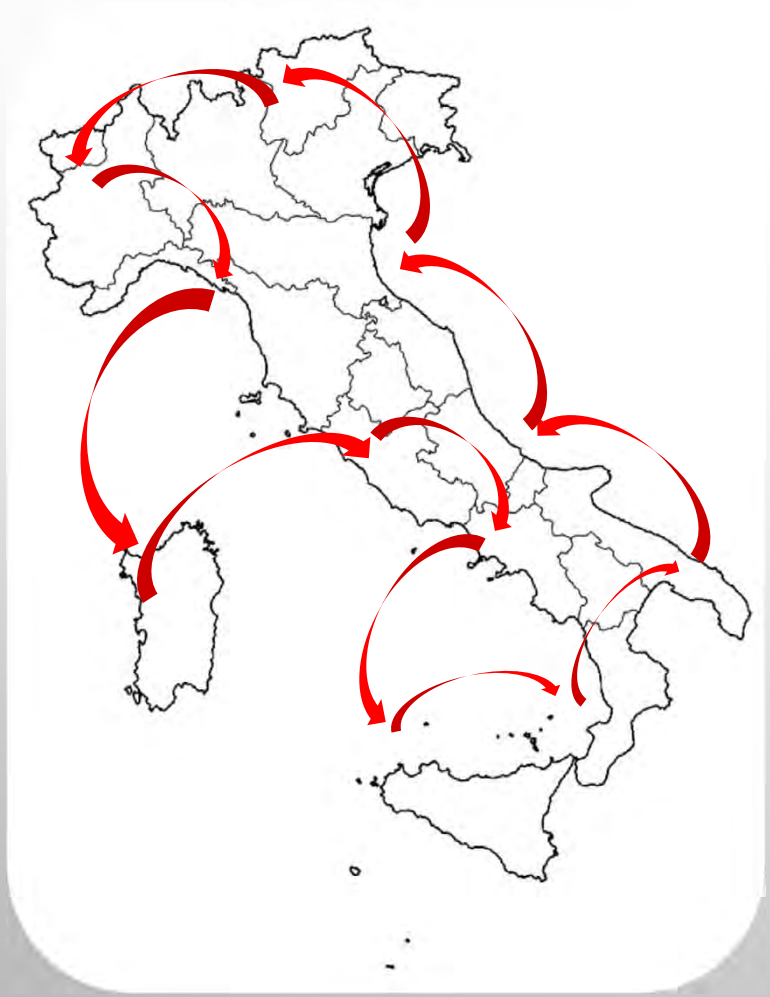
La possibilità di confronto e di condivisione in tempo reale, offerta da un mezzo quale la rete internet, è un traguardo che proietta la farmaceutica galenica oltre i limiti geografici. La creazione di una rete informatizzata, che permette di consultare e condividere le formulazioni già messe a punto presso una farmacia, agevola le altre nella preparazione di quelle formulazioni che possono costituire una nuova richiesta da parte dei clinici di un'altra struttura ospedaliera.

La messa a punto di una nuova preparazione galenica è un processo complesso che richiede un significativo impiego di risorse e di tempo, che talvolta non è compatibile con i tempi di attesa concessi dall'evoluzione clinica della patologia che si vorrebbe curare. Pertanto, la possibilità di accedere al CGS on line permette a tutti gli utenti, accreditati, di reperire la formulazione già studiata e renderla presto disponibile per la terapia.

Inoltre, è stata creata la possibilità di evidenziare quelle formulazioni galeniche di consolidato uso in pediatria al fine di conoscerne la tollerabilità nel paziente pediatrico: questo può essere evidenziato automaticamente al momento dell'inserimento della formulazione nel database costituendo il Prontuario della Galenica Pediatrica (PGP).

Il PGP nasce dall'esigenza, comune alle Farmacie degli ospedali pediatrici o che

PROGETTO LABORATORI GALENICI E FARMACI ORFANI ON LINE



Cosa?
Realizzare un canale di comunicazione web unico tra operatori sanitari, pazienti ed officine di produzione

Perchè?
Per semplificare e velocizzare l'accesso alle terapie da parte dei soggetti affetti da MR

Come?
- Identificando tutti i siti produttivi e relativi farmacisti responsabili
- Elaborando un protocollo nazionale unico per la richiesta e la distribuzione dei farmaci

PROGETTO LABORATORI GALENICI E FARMACI ORFANI ON LINE

- Creare una sezione del sito SIFO dedicata ai laboratori che allestiscono farmaci orfani dove raccogliere e sviluppare:

  - ✓ Indirizzi e riferimenti referenti
  - ✓ Gruppo di discussione e mailing list
  - ✓ Farmaci allestiti per centro
  - ✓ Caratteristiche di massima per centro

- Collegamento al Codice di Galenica SIFO on-line

  - ✓ Schede di preparazione dei farmaci galenici validati da SIFO (anche farmaci orfani)

Altri Progetti dei Farmacisti del SSN

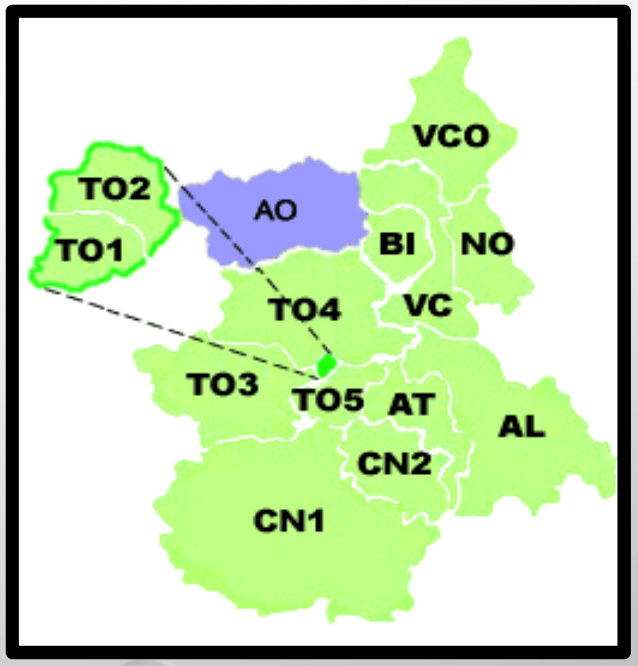
Rete Interregionale Piemonte e Valle D'Aosta per la preparazione di medicinali galenici per pazienti affetti da MR

20 (70%) FARMACIE OSPEDALIERE

Centro coordinamento: AO Molinette Torino

AO OIRM S. Anna Regina Margherita Torino
ASL TO 1 Valdese/Oftalmico Torino
ASL TO 2 Giovanni Bosco-Maria Vittoria Torino
ASL TO 3 Rivoli - Torino
ASL NO Novara
AO Maggiore della Carità Novara
ASL AT Asti
ASL VC Vercelli
ASL CN 1 Mondovì
AO S. Croce e Carle Cuneo
ASL Cuneo
ASL TO 4 Ivrea
ASL TO 5 Moncalieri - Torino
ASL BI Biella
AO Mauriziano Torino
AO AL Alessandria
Ospedale Regionale U. Parini, Valle d'Aosta





RETE INTERREGIONALE PIEMONTE e VALLE D'AOSTA
per la preparazione e dispensazione di galenici per pazienti affetti da MR

1. Mappatura delle tipologie di galenici allestiti in Regione Piemonte e Valle d'Aosta
2. Realizzazione e Pubblicazione sul sito web della Rete del *Registro dei medicinali galenici per MR*
3. Creazione di specifiche *schede di allestimento* per garantire uniformità nelle metodiche di preparazione
4. Elaborazione di *schede di follow-up* per garantire un sistema di farmacovigilanza
5. Realizzazione di *foglietti informativi* per rispondere alle domande più frequenti poste dal paziente utilizzatore

CONCLUSIONI
E ALTRE PROPOSTE SIFO

Farmaci orfani di diritto nei PTR e PTO

Promozione della l. 648/96 per i farmaci orfani nelle MR

Area SIFO Malattie Rare dal 2012

Regimi di dispensazione uniformi tra Regioni

Monitoraggio appropriatezza terapeutica e tossicità d'uso farmaci orfani

Off label in tempi rapidi per urgenza terapeutica in casi singoli

Defiscalizzazione per la ricerca clinica e pre-clinica

Promuovere reti collaborative «tipo» Piemonte-Valle d'Aosta

PDTA

RIFERIMENTI UTILI

DR. FELICE MUSICCO (ROMA) **COORDINATORE AREA SIFO MALATTIE RARE**	fmusicco@hotmail.it
DR.SSA ANTONIETTA CORATTI (ROMA)	antonietta.coratti@virgilio.it
DR.SSA EMANUELA PEILA (TORINO)	emanuelapeila@hotmail.com
DR. DAVIDE ZANON (TRIESTE)	zanon@burlo.trieste.it
DR.SSA STEFANIA DELL'ORCO (FRASCATI)	stefaniadellorco@alice.it
DR. ROSARIA SORBELLO (SIRACUSA)	rosariasorbello@libero.it
DR. RAFFAELLA SBRESCIA (NAPOLI)	draffaelasbrescia@libero.it
DR. DOMENICO TARANTINO (ROMA)	domenico.tarantino@sifoweb.it