“Siamo Rari…ma Tanti”

STATI GENERALI DELLE MALATTIE RARE

COSTRUIRE UN RESPIRO UNICO

Roma, 13 dicembre 2012

Emanuela Peila

AREA SIFO MALATTIE RARE

Farmacia Ospedaliera – ASL TORINO 5

Normativa Nazionale

Decreto Ministeriale 279/2001

Art. 6 – Modalità di erogazioni delle prestazioni

- L'assistito riconosciuto esente ha diritto alle prestazioni di assistenza sanitaria
  - riconosciute nei LEA
  - efficaci e appropriate per il trattamento e il monitoraggio della malattia rara e per la prevenzione di ulteriori aggravamenti

- Le Regioni predispondono modalità specifiche per la distribuzione dei farmaci, anche mediante la fornitura diretta da parte dei Servizi Farmaceutici pubblici.

→ REGISTRO NAZIONALE

| Emanuela Peila
| AREA SIFO MALATTIE RARE

Regione Piemonte

Farmaci erogati per i pazienti affetti da malattie rare

Circolare Regionale 11 ottobre 2005 e s.m.i.

Distribuzione diretta –

Piano Terapeutico Regionale

- Farmaci A- H (ex Osp2) - C
- Farmaci esteri
- Farmaci ai sensi della Legge 648/96
- Farmaci off- label
- Farmaci orfani
- Galenici



Italia – Modalità di distribuzione farmaci

Gruppo Tecnico delle MR
SLA – Vit. E e C

MR Neurologiche –
elenco farmaci classe C

Commissione Aziendale

Sì farmaci classe C

No farmaci classe C



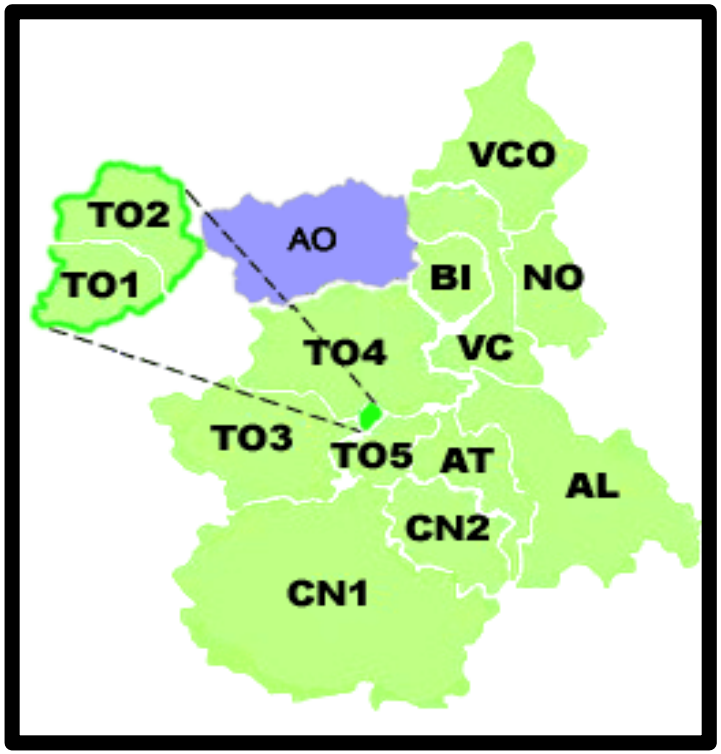
| Emanuela Peila
| AREA SIFO MALATTIE RARE

RETE INTERREGIONALE PIEMONTE E VALLE D'AOSTA PER LA PREPARAZIONE DI MEDICINALI GALENICI PER PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIA RARA

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



| Emanuela Peila
| AREA SIFO MALATTIE RARE

Rete interregionale Piemonte e Valle d'Aosta per la preparazione e dispensazione di galenici per pazienti affetti da patologia rara

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

| Emanuela Peila
| AREA SIFO MALATTIE RARE

Prontuario di preparazioni galeniche (PTR GAL MR)

NOME MEDICINALE GALENICO	CONFEZIONAMENTO	FORMA FARMACEUTICA	INDICAZIONE TERAPEUTICA	CODICE PATOLOGIA RARA	ASL/ASO	LETTERATURA A SUPPORTO	CODICE REGIONALE GALENICO	ATC	TARIFFA (Euro)
Acido acetilsalicilico 20 mg	*30*	capsule	Sindrome di Kawasaki	RG0040	ASL TO 3	Treatment of acute Kawasaki disease: aspirin's role in the febrile stage revisited.Hsieh KS, Weng KP, Lin CC, Huang TC, Lee CL, Huang SM. Pediatrics. 2004 Dec;114(6):e689-93.	GROCRG001	C01E	8,1
Baclofene 1 mg	*30*	cartine	disturbi del metabolismo e degli amminoacidi/cistinuria	RCG040	ASL TO 2 Giovanni Bosco	"Orally administered drugs in the treatment of spasticity" Campistol J.1: Rev Neurol. 2003 Jul 1-15;37(1):70-4.	GROCRC002	A16A	8,4
Betaina base 1200 mg	*30*	cartine	omocistinuria	RCG040	ASL NO	Wicken, D. E. L., Wicken, B., Luddman, N. P. E., Tyrrell, P. A. "Homocystinuria--the effects of betaine in the treatment of patients not responsive to pyridoxine. New Eng. J. Med. 309: 448-453, 1983.	GROCRC004	A16A	9
Bicarbonato di sodio 8,4%	*1 L*	soluzione acquosa	tubulopatia renale congenita	RJG011- codice esenzione valido solo per la Regione Piemonte	ASL BI	Manuale Merck- Anomalie congenite - anomalie nel trasporto renale	GROSRJ005	G04B	5
Capsaicina 31,25 mg	*30 / 100*	capsule	sclerodermia (sclerosi sistemica progressiva)	RM0091 - codice esenzione valido solo per la Regione Piemonte	ASL TO 2 Giovanni Bosco	"Preliminary protocol for systemic administration of capsaicin for the treatment of the burning mouth syndrome" Lauritano D, Petruzzi M, Baldoni M., Minerva Stomatol. 2003 Jun;52(6):273-8.	GROCRM006	D11	8,50 (30 cps) / 17,8 (100cps)
Ciclosporina 0,5%	*10 ml*	collirio	pemfigoide benigno delle mucose	RL0030	ASL VC Vercelli	Manuale Merck - Affezioni dermatologiche- malattie bollose	GRFSRL007	S01X	18,5
Citrullina 500 mg	*30*	capsule	intolleranza alle proteine con lisinuria	RCG040	ASL NO	Mizutani N, Kato T, Maehara M, Watanabe K, Ban M. "Oral administration of arginine and citrulline in the treatement of lysinuric protein intollerance."Tohoku J Exp Med.1984 Jan;142(1):15-24	GROCRC008	A12C	11,2
Clobetasolo 0,5mg in idrossietilcellulosa 4% anaparti	*100 g*	unguento	pemfigo orale	RL0030	AOU S. Giovanni Battista, ASL 19 AT, ASO Maggiore della Carità Novara	in the Treatment of Patients with Bullous Pemphigoid: A Multicenter Randomized Study.Joly P, et al -J Invest Dermatol. 2009 Jan 29. doi:10.1038/jid.2008.412. The role of topical corticosteroids in bullous pemphigoid in the elderly.Joly P, Fontaine J, Roujeau JC. -Drugs Aging. 2005;22(7):571-6.	GRTPRL009	D11	13,8
Creatina 0,5 g	*100*	cartine, capsule	atrofia muscolare spinale, sindrome di Werdnig-Hoffman	RFG050	ASL 19 AT	"Creatine for treating muscle disorders" Kley, R.A. The Cochrane Library, 2007. "Clinical use of creatine in neuromuscolar and neurometabolic disorders" Tarnopolosky MA. Subcell Biochem.2007;46:183-204.	GROCRF010	M09	19
Creatina Monoidrata 1 g	*30*	cartine	miopatia congenita ereditaria	RFG070	ASL TO 2 Maria Vittoria	Shefner JM, et al. A clinical trial of creatine in ALS.Neurology 2004;63:1656-61. Persky AM, Brazeau GA. Clinical pharmacology of the dietary supplement creatine monohydrate. Pharmacol Rev 2001;53:161-76. www.farmacovigilanza.org-Impiego terapeutico creatina orale.	GROCRF011	M09	8,5
Creatina 2 g – 3 g	*30 / 90*	cartine	distrofia muscolare (es.Distrofia muscolare di Duchenne)	RFG080	ASL TO 2 Giovanni Bosco, ASL TO 3	Say the Nutritional Supplement May Improve Muscle Strength" Kley, R.A. The Cochrane Library, 2007. "Creatine monohydrate as a therapeutic aid in muscular dystrophy", Pearlman JP, Fielding RA., Nutr Rev. 2006 Feb;64(2 Pt 1):80; Clinical use of creatine in neuromuscular and neurometabolic disorders.Tarnopolsky MA. Subcell Biochem. 2007;46:183-204.	GROCRF012	M09	8,9 (3 g 30 cartine) / 10,5 (2 g 30 cartine) / 23,7(2 g 90 cartine)
Creatina 2 g	*30*	cartine	neuropatie ereditarie	RFG060	ASL TO 3	Resistance training exercise and creatine in patients with Charcot-Marie-Tooth disease. Chetlin RD, Gutmann L, Tarnopolsky MA, Ullrich IH, Yeater RA.Muscle Nerve. 2004 Jul;30(1):69-76.	GROCRF013	N07	8,5
Creatina 2,5 g	*30*	cartine	SLA	RF0100	ASL TO 3	cellular energy impairment in neurodegenerative diseases. Adhihetty PJ, Beal MF.Neuromolecular Med. 2008;10(4):275-90 Creatine monohydrate in ALS: effects on strength, fatigue, respiratory status and ALSFRS. Rosenfeld J, King RM, Jackson CE, Bedlack RS, Barohn RJ, Dick A, Phillips LH, Chapin J, Gelinas DF, Lou JS. Amyotroph Lateral Scler. 2008 Oct;9(5):266-72.	GROCRF014	N07	8,7

63 preparazioni galeniche

30 patologie rare

| Emanuela Peila
| AREA SIFO MALATTIE RARE

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

- Indagine con Associazione Cittadinanza Attiva per verificare problemi di accesso ai farmaci (anche orfani) per i Pazienti
- Progetto per pubblicare sul sito SIFO elenco dei laboratori galenici del SSN che producono farmaci orfani
- Il codice di galenica SIFO on-line con modalità di preparazione validati dei farmaci galenici (anche orfani)
- Promuovere studi indipendenti per verificare l'appropriatezza d'uso dei farmaci orfani (Bandi AIFA?)

| Emanuela Peila
| AREA SIFO MALATTIE RARE

COSA STA FACENDO SIFO ?

PROGETTO CON CITTADINANZATTIVA

- Organizzazione Servizi Farmaceutici Ospedalieri e Territoriali
- Modalità di distribuzione farmaci ai pazienti
- Spesa farmaceutica suddivisa per tipologia di farmaci

Spesa per i farmaci orfani + 1,4% nel 2011 vs 2010

Per i farmaci orfani anche i farmacisti ritengono che i tempi di erogazione siano troppo lunghi

PROGETTO CON CITTADINANZATTIVA

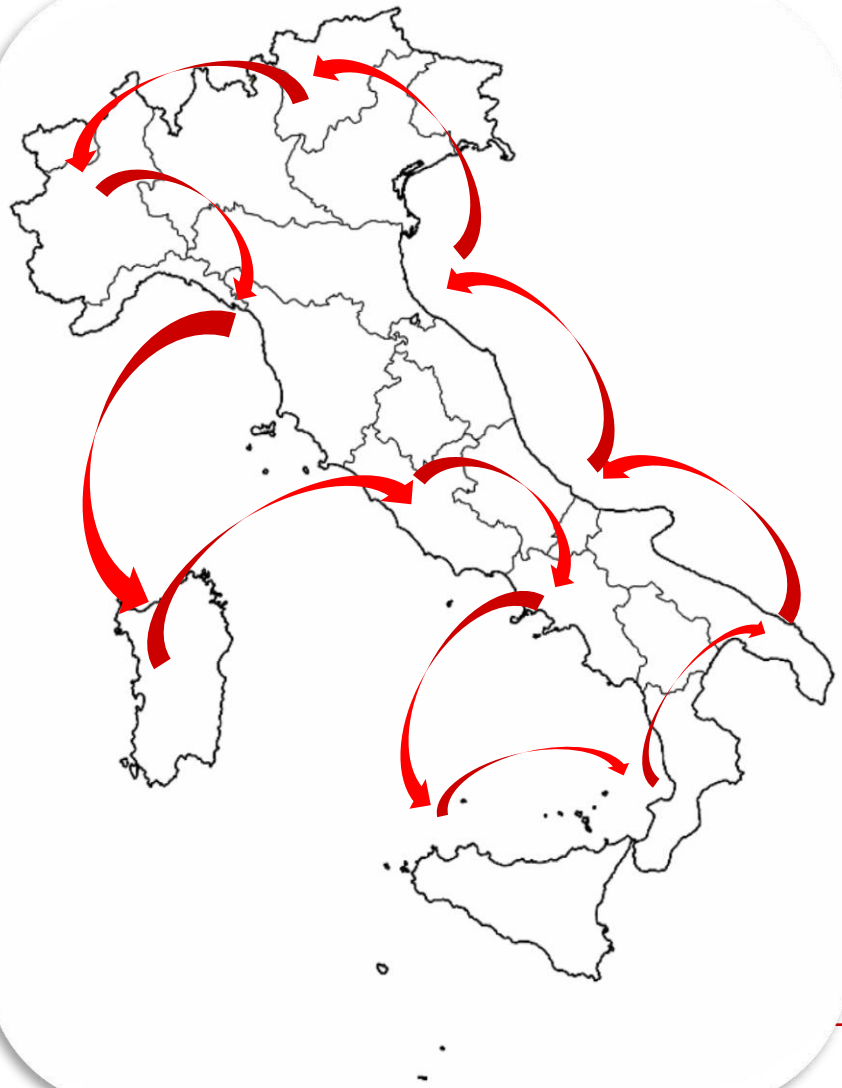
| Emanuela Peila
| AREA SIFO MALATTIE RARE

Altre difficoltà rilevate dai farmacisti per l'accesso ai farmaci dei pazienti

- Farmaci off label
  - Budget
  - Inappropriatezza prescrittiva
  - Normative nazionali, regionali, aziendali
  - Procedure amministrative
    - Tempi e richieste di autorizzazione
  - Costi per i pazienti
- Farmaci H – PHT
  - Tempi di inserimento nei PT
  - Non adeguata conoscenza normativa da parte dei prescrittori
  - Lontananza del paziente dalla farmacia ospedaliera
- Farmaci esteri
  - Importazione per soli 90 gg
  - Difficoltà nella reperibilità
  - Procedure amministrative
    - Tempi e richieste di autorizzazione
  - Costi per i pazienti
- Galenici
  - Risorse economiche, di personale, di attrezzature
  - Inappropriatezza prescrittiva
  - Procedure amministrative
    - Tempi e richieste di autorizzazione
  - Costi per i pazienti
  - Tempi di realizzazione

| Emanuela Peila
| AREA SIFO MALATTIE RARE

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 patologie rare

Come?

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

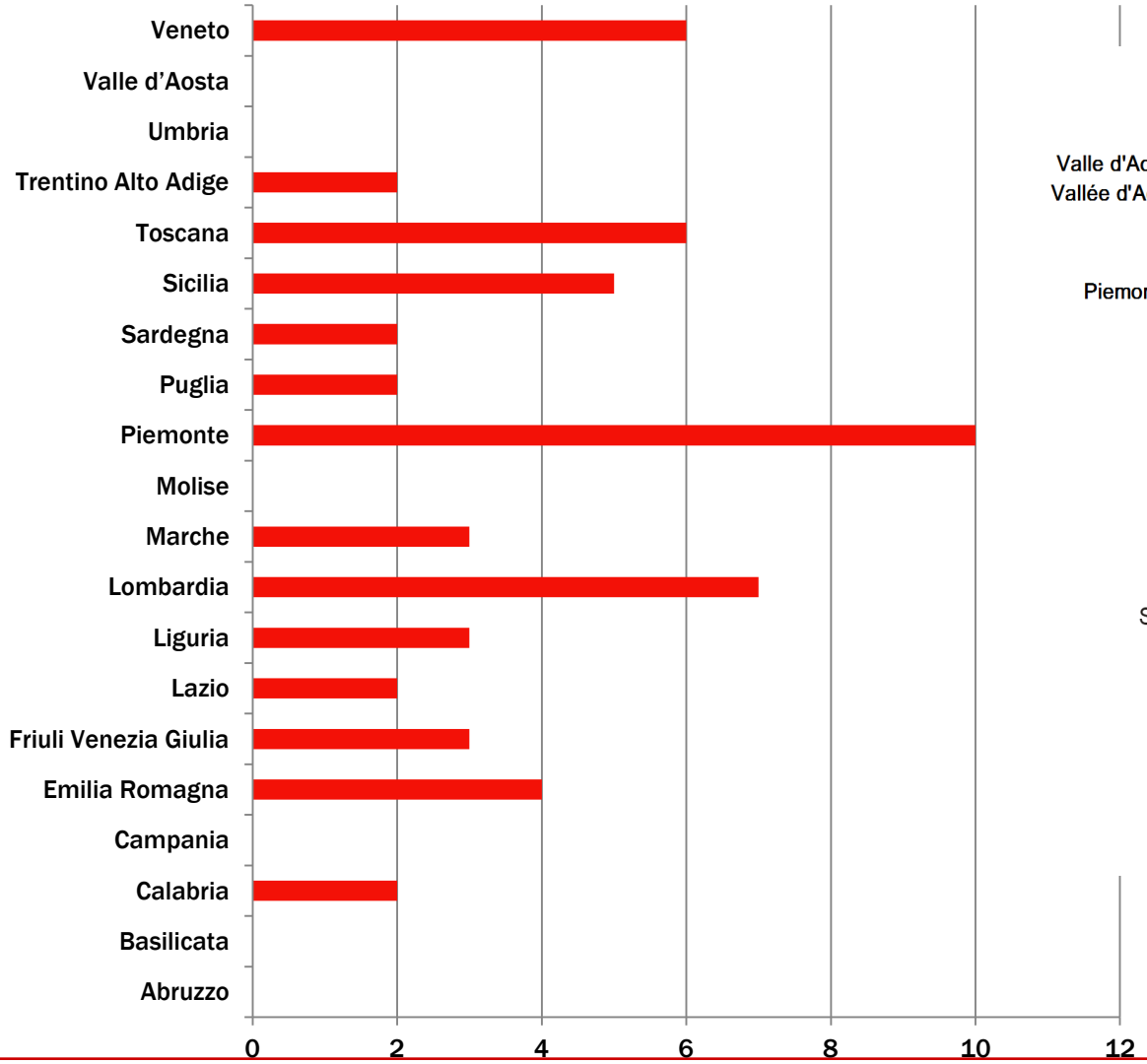
| Emanuela Peila
| AREA SIFO MALATTIE RARE

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)
- Integrazione con il **progetto già attivo interregionale Piemonte-Valle d'Aosta**

| Emanuela Peila
| AREA SIFO MALATTIE RARE

Progetto Laboratori galenici e Farmaci Orfani on line





58 RISPOSTE

Proposte SIFO

Promozione della L. 648/96 per i farmaci orfani nelle malattie rare

Area SIFO Malattie Rare dal 2012

Farmaci orfani di diritto nei PTR e PTO

Off label in tempi rapidi per urgenza terapeutica in casi singoli

Monitoraggio appropriatezza terapeutica e tossicità d'uso farmaci orfani

Regimi di dispensazione uniformi tra Regioni

PDTA

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

Defiscalizzazione per la ricerca clinica e pre-clinica

Riferimenti utili

DR. Felice Musicco (ROMA) fmusicco@hotmail.it

Coordinatore AREA SIFO Malattie Rare

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


Grazie per l’attenzione !