



Protocollo di intesa tra

**l'ASL DI BRESCIA,
i PRESIDI DI RETE MALATTIE RARE e
le STRUTTURE DI RICOVERO E CURA PUBBLICHE E PRIVATE ACCREDITATE**

per

**L'ATTUAZIONE DEL PERCORSO CONDIVISO DI PRESA IN CARICO PER LE MALATTIE
RARE
ai sensi della DGR N.IX/1185/2013 e della DGR N.X/2989/2014**

Primo aggiornamento - Giugno 2015

Al fine di ottemperare alle disposizioni di Regione Lombardia dettate con DGR n. IX/1185/2013 al punto 3.3.5, ad oggetto: "Malattie Rare: percorso condiviso ASL/AO di presa in carico" e con DGR n. X/2989 del 23 dicembre 2014, al Capitolo 4.2.2 "Farmaci per malattie rare" dell'Allegato B - Regole di Sistema 2015 ambito sanitario, per promuovere una modalità condivisa secondo la quale il paziente trovi univoco comportamento sul territorio e sia facilitato l'accesso alle terapie appropriate, l'ASL di Brescia, i Presidi di Rete Malattie Rare (A.O. Spedali Civili di Brescia e Fondazione Poliambulanza) e le Strutture di Ricovero e Cura Pubbliche e Private Accreditate

CONCORDANO IL PRESENTE PERCORSO

elaborato sulla base delle indicazioni impartite dalla D.G. Salute, che ha definito i ruoli delle ASL, dei Presidi di Rete Malattie Rare e delle Strutture presenti nel luogo di residenza dell'assistito affetto da malattia rara.

1. Premessa

La Delibera della Giunta Regionale Lombarda n° VII/7328 del 2001 ha stabilito quanto segue.

- *I pazienti affetti dalle malattie rare esenti incluse nell'apposito elenco ministeriale hanno diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo per i farmaci necessari alla cura della malattia.*
- *In particolare, possono essere forniti gratuitamente tutti i farmaci registrati sul territorio nazionale (classi: A, H, C), i farmaci inseriti negli elenchi speciali predisposti dall'AIFA (legge 648/96 e relativi allegati) e i farmaci registrati all'estero (Decreto 11 febbraio 1997, "Modalità di importazione di specialità medicinali registrate all'estero").*
- *La terapia farmacologica deve essere prescritta dallo specialista che opera nel Presidio della Rete Malattie Rare identificato per la specifica malattia, per mezzo della Scheda per la*

Prescrizione dei Farmaci. Tale scheda, conosciuta anche come Piano Terapeutico, ha validità massima di un anno ed è rinnovabile dal medico specialista del Presidio. Ai fini dell'erogazione dei farmaci in regime di esenzione copie di detta scheda devono essere fatte pervenire al medico curante (Medico di Medicina Generale o Pediatra di Libera Scelta) e alla ASL di residenza dell'assistito.

- *Sia a livello nazionale che regionale i farmaci orfani non sono ad oggi inclusi in un "fondo specifico" ma partecipano alla spesa farmaceutica e alla definizione del tetto nazionale e regionale; la spesa per tali farmaci dovrebbe essere intesa come una "dote" che segue il paziente e non una spesa attribuibile solo alla singola struttura.*
- *I fondi per i farmaci prescritti per le malattie rare non sono extrabudget, ma hanno un "tetto di sistema" a livello regionale in quanto ricompresi nel finanziamento sanitario nazionale.*

2. Obiettivo

Il presente documento ha l'obiettivo di definire nel contesto bresciano il percorso del paziente affetto da Malattia Rara al fine di garantirne l'accesso facilitato alle terapie appropriate, secondo modalità generali uniformemente indicate a livello regionale.

Il documento definisce in tal senso i ruoli dell'ASL e delle Strutture presenti nel luogo di residenza dell'assistito, evidenziando le competenze dei Presidi di Rete Malattie Rare (RMR).

3. Ruolo del Presidio di Rete Malattie Rare

Secondo quanto indicato a livello regionale il Presidio di Rete Malattie Rare (RMR):

- Provvede dopo l'accertamento diagnostico, a dispensare direttamente la terapia prescritta, così da avviare tempestivamente il trattamento e valutarne l'efficacia e la tollerabilità; garantisce l'erogazione di terapie per le malattie rare individuate è quindi requisito fondamentale per ciascun Presidio di RMR.
- Redige la certificazione ai fini dell'esenzione per malattia rara per mezzo dell'applicativo Rete Malattie Rare (RMR) che opera nell'ambito del sistema Carta Regionale dei Servizi-Sistema Informativo Socio Sanitario (CRS-SISS).
- Redige, se necessario, il Piano Terapeutico; ne trasmette copia all'ASL di residenza dell'assistito e consegna allo stesso ulteriore copia per il MMG/PLS.
- Trasmette puntuale ed adeguata informazione circa la diagnosi e i trattamenti prescritti al MMG o PLS, al fine di garantire l'integrazione delle informazioni sul paziente affetto da Malattia Rara.
- Per garantire la continuità di cura, prende contatti con i clinici della Struttura Ospedaliera territoriale più vicina al domicilio dell'assistito, subordinatamente al parere favorevole dello specialista di riferimento del Presidio di RMR e previo assenso del paziente o del legale rappresentante. Concorda le modalità di accesso a tale struttura, garantendo la continuità di cura ed informando il centro Malattie Rare dell'ASL di residenza dell'assistito (per gli assistiti

dell'ASL di Brescia: "Centro Territoriale Malattie Rare" dell'ASL Brescia - Viale Duca degli Abruzzi, 15 – Brescia telefono: 030.3839256 - indirizzo mail: malattierare@aslbrescia.it

- Garantisce la fornitura diretta nel caso di: terapie in fascia H, farmaci registrati all'estero che si possono somministrare a domicilio (orali e sottocutanee), farmaci caratterizzati da particolari difficoltà di reperimento e/o di gestione, farmaci inseriti nei Registri Farmaci sottoposti a Monitoraggio predisposti da AIFA. Per ridurre gli accessi del paziente si deroga dai 60 giorni previsti per la rendicontazione in File F, secondo quanto disposto dalla DGR n° X / 1185 del 20/12/2013, consentendo anche la copertura sino a 90 giorni, al fine di far coincidere la visita di controllo con la fornitura/erogazione della terapia.
- Garantisce anche la fornitura di eventuali farmaci inseriti nella Legge 648/96 (Tipologia 3 del File F)

In casi selezionati, quando non siano disponibili o si siano già dimostrati inefficaci farmaci in indicazione, lo specialista che opera nel Presidio di riferimento per una determinata malattia rara può proporre l'impiego di un farmaco al di fuori delle indicazioni autorizzate riportate nel Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP).

Tale uso "*off-label*" può attenersi all'impiego del farmaco secondo una diversa indicazione terapeutica, un diverso dosaggio, una diversa modalità di somministrazione, un diverso gruppo di pazienti, rispetto a quelli per cui ha ottenuto l'Autorizzazione all'Immissione in Commercio (AIC) e riportati in RCP.

Nel considerare le possibilità di impiego *off-label* di un farmaco è necessario tener conto delle seguenti norme:

- dal 1996 il SSN può erogare a proprie spese farmaci utilizzati *off-label*, purché ricompresi nella Lista 648/96 o nelle Liste di "farmaci con uso consolidato sulla base dei dati della letteratura scientifica, per indicazioni anche differenti da quelle previste dal provvedimento di AIC" predisposte e periodicamente aggiornate da AIFA;
- a fronte di tale disposizione generale, la cosiddetta "legge Di Bella" (Art. 3 del decreto-legge 17 febbraio 1998, n. 23, convertito con modificazioni dalla legge 8 aprile 1998, n. 94) ha subordinato la prescrivibilità di farmaci *off-label* al convincimento del medico curante che il proprio paziente non possa essere trattato con medicinali già approvati (cioè dotati di un'AIC che riporti espressamente l'indicazione terapeutica rilevante), purché di simile impiego *off label* sia già stato dato atto nella letteratura scientifica;
- la Finanziaria del 2008 (Art. 2, comma 348, della legge 24 dicembre 2007, n. 244), ha quindi introdotto un'ulteriore delimitazione delle prescrizioni di farmaci *off-label* all'interno del SSN e a suo carico, e ha disposto che in nessun caso il medico curante può prescrivere, per il trattamento di una determinata patologia, un medicinale di cui non è autorizzato il commercio quando sul proposto impiego del medicinale non siano disponibili almeno dati favorevoli di sperimentazioni cliniche di fase seconda.

Da quanto esposto si dispone che lo specialista che opera in un Presidio della Rete Malattie Rare può prescrivere un farmaco *off-label*, inserendolo nel Piano Terapeutico, quando:

A. L'impiego proposto è previsto nella Lista 648/96 o nelle Liste di "farmaci con uso consolidato sulla base dei dati della letteratura scientifica, per indicazioni anche differenti da quelle previste dal provvedimento di AIC" predisposte e periodicamente aggiornate da AIFA.

B. In casi non contemplati al punto A, sono comunque soddisfatte tutte le seguenti condizioni:

- 1) il paziente non può essere trattato con medicinali già approvati;
- 2) assunzione di responsabilità da parte del medico prescrittore;
- 3) acquisizione del consenso informato da parte del paziente o del legale rappresentante;
- 4) disponibilità almeno di dati favorevoli di sperimentazioni cliniche di fase seconda.

Quando l'impiego *off-label* di un determinato farmaco è previsto dal Percorso Diagnostico, Terapeutico e Assistenziale (PDTA) condiviso a livello regionale, non è necessario procedere ad un riesame della letteratura per soddisfare il punto 4), ma le altre condizioni devono essere rispettate.

I PDTA condivisi a livello regionale sono disponibili sul sito web della Rete Regionale Malattie Rare nella Sezione dedicata <http://malattierare.marionegri.it>

In singoli casi, in particolare per quanto riguarda condizioni tanto rare da non rendere realizzabili sperimentazioni cliniche di fase seconda, il Centro di Coordinamento, in accordo con la Direzione Generale Sanità, è disponibile a fornire un parere in merito alla possibilità di una prescrizione a carico del Servizio Sanitario Regionale.

Se invece il paziente risiede in un'altra regione, riceverà il Piano Terapeutico e farà riferimento alla ASL di competenza.

Per i pazienti lombardi, in cura presso Presidi di RMR extraregionali, la ASL assicura l'erogazione delle terapie non disponibili presso le farmacie al pubblico, dei farmaci *off-label*, e l'importazione dei farmaci esteri eventualmente prescritti, sia non registrati che carenti sul territorio nazionale, direttamente o anche per tramite dei Presidi di RMR regionali, ospedali territoriali, IRCCS o Fondazioni. L'allocazione presso strutture ospedaliere regionali va riservata alle terapie infusionali e/o che richiedono un complesso monitoraggio. La ASL garantisce la continuità assistenziale tramite farmaci disponibili in commercio, a bassa criticità di utilizzo.

Per quanto attiene la fornitura, in analogia con quanto previsto per i farmaci inseriti nella Legge 648/96, per gli assistiti dal SSR lombardo l'erogazione deve essere garantita dal Presidio di rete malattie rare e la rendicontazione è **in tipologia 10 del File F** (se erogata dai Presidi di RMR regionali, Ospedali territoriali, IRCCS o Fondazioni), **in tipologia 13 del File F** (se erogata direttamente dalla ASL).

I farmaci esteri possono essere forniti solo per le indicazioni registrate nei paesi di provenienza (ai sensi del D.M. 31 gennaio 2006 "Modificazioni al decreto 11 febbraio 1997, Modalità di importazione di specialità medicinali registrate all'estero").

4. Ruolo dell'Ospedale vicino alla residenza dell'assistito

La Struttura territoriale, individuata dal Presidio di RMR regionale ed in collegamento funzionale con esso:

- secondo quanto concordato con il Presidio di RMR, effettua gli interventi pianificati per garantire la continuità di cura;
- provvede alla eventuale infusione di terapie complesse che comportano assistenza ospedaliera, qualora venga richiesto dal paziente l'accesso alla terapia nel luogo più vicino alla residenza. Tale possibilità si applica anche per pazienti presi in carico da Presidi di RMR extraregione, qualora si verifichino le condizioni suddette. Il costo dei farmaci erogati/somministrati per la MR deve essere rendicontato nell'apposita **tipologia 10 del File F**;

- Si evitano così spostamenti che possono risultare economicamente onerosi e/o gravosi in termine di tempo necessario, con conseguente peggioramento della qualità della vita, in accordo con la normativa vigente (DGR. 20/01/09 n. VIII/8884, art.3 Burl.,1° suppl. straordinario al n.5 del 03/02/2009).

5. Ruolo dell'ASL

- La ASL ha competenza e predispone, anche per il tramite delle farmacie territoriali, l'erogazione dei farmaci in fascia A e C e dei galenici prescritti (ricetta rossa) e di tutto quanto non richiede assistenza specialistica.
- Per i pazienti lombardi, in cura presso Presidi di RMR extraregionali, l'ASL assicura l'erogazione delle terapie non disponibili presso le farmacie al pubblico e l'importazione dei farmaci esteri eventualmente prescritti, sia non registrati che carenti sul territorio nazionale, anche per il tramite dei Presidi di RMR regionali, ospedali territoriali, IRCCS o Fondazioni. L'allocazione presso strutture ospedaliere regionali va riservata alle terapie infusionali e/o che richiedono un complesso monitoraggio. L'ASL garantisce la continuità assistenziale tramite farmaci disponibili in commercio, a bassa criticità di utilizzo, evitando duplicazioni di visite e controlli ospedalieri che si traducono in un aumento ingiustificato dei costi complessivi per il SSR.
- In singoli casi, in particolare per quanto riguarda condizioni tanto rare da non rendere realizzabili sperimentazioni cliniche di fase seconda, il Centro di Coordinamento, in accordo con la Direzione Generale Sanità, è disponibile a fornire un parere in merito alla possibilità di una prescrizione a carico del Servizio Sanitario Regionale.
- Nel caso sia necessaria la fornitura diretta da parte dell'ASL, la richiesta sarà valutata dalla "Commissione Forniture Straordinarie" dell'ASL.
- Per quanto attiene la fornitura diretta da parte dell'ASL, per gli assistiti dal SSR lombardo comporta la rendicontazione **in tipologia 13 del File F**.
- Va sempre attentamente valutata e condivisa la necessità di indirizzare il paziente seguito da un centro extraregionale ad un centro di RMR regionale, ospedale territoriale, IRCCS o Fondazione; la scelta deve essere fatta tenendo conto delle necessità cliniche e nel rispetto delle scelte del paziente.
- Qualora sia necessaria una specifica assistenza ospedaliera per l'assistito lombardo seguito da Presidi di RMR fuori regione, l'ASL di competenza esercita un ruolo di coordinamento e di facilitazione all'accesso delle cure, coordina gli interventi, fornisce al clinico di competenza dell'ospedale locale o del Presidio di RMR regionale tutta la documentazione necessaria e gli indispensabili contatti con lo specialista del Centro di riferimento di provenienza.

Enti sottoscrittori del percorso condiviso:

- **ASL di Brescia**

- **Presidi di Rete delle Malattie Rare**
 - A.O. Spedali Civili – Brescia
 - Fondazione Poliambulanza – Brescia

- **Strutture di Ricovero e Cura Pubbliche e Private Accreditate:**
 - A.O. Desenzano d/Garda – Desenzano d/Garda
 - A.O. Mellino Mellini - Chiari
 - Istituti Ospedalieri Bresciani s.p.a.- Istituto Clinico S. Anna – Brescia
 - Istituti Ospedalieri Bresciani s.p.a.- Istituto Clinico Città di Brescia – Brescia
 - Istituto Clinico S. Rocco – Ome
 - Fondazione Teresa Camplani - Casa di Cura Domus Salutis – Brescia
 - Istituto delle Figlie di San Camillo - Casa di Cura S. Camillo Brescia
 - Fondazione S. Maugeri – Centro Medico di Lumezzane
 - Provincia Lombardo-Veneta Ordine Ospedaliero di S.Giovanni di Dio FBF – IRCCS S.Giovanni di Dio – FBF di Brescia
 - Fondazione Don C.Gnocchi – ONLUS Centro di Riabilitazione E. Spalenza – Rovato