Regione Puglia

Azienda Sanitaria Locale Taranto

www.asl.taranto.it

# XVI CONGRESSO NAZIONALE CARD

## Il Dipartimento Farmaceutico di ASL – Problem Solving

*Rossella Moscogiuri*
*Direttore Dipartimento Farmaceutico ASL Taranto*

*Bari, 25 maggio 2018*

*Rari ma non invisibili*

*Scenario di contesto*

**Quadro normativo**

**PNMR (2014) PN Cronicità (settembre 2016)**

**PNMR: paragrafo 2.4 –Accordi tra le Regioni e tra i Presidi della Rete**

**Parole chiave: EBM,Appropriatezza ed Effica cia, essenzialità,sicurezza**

## PN Cronicità (settembre 2016)

EBM → PDTA

**Il Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale rappresenta la risposta per arrivare al VBM, alla creazione del valore**

**APPROPRIATEZZA ORGANIZZATIVA**

# Aspetti antropologici

↓

**Relazione con il vissuto esperenziale del paziente**

***Un paziente esperto è colui che consapevolmente riesce ad estrarre dalla propria esperienza di salute un "valore" di conoscenza utile per l'orientamento delle scelte decisionali ed organizzative sia in ambito di assistenza, sia di ricerca, sia di responsabilità sociale.***

**Medicina efficace ma sostenibile sia economicamente sia per valori individuali e sociali in grado di conciliare "le linee guida" EBM con gli effettivi bisogni/valori del paziente e della comunità in cui vive.**

***Ambiti di intervento***

***1. Assistenza***

***2. Ricerca***

***3. Responsabilità sociale***

# OBIETTIVO CONDIVISO

**La consapevolezza che è il paziente "raro" che deve saper orientare la ricerca finalizzata**

**-La "produzione di nuovi farmaci": sperimentazione, sicurezza e sostenibilità**

**-L' attuazione di nuovi modelli organizzativi gestionali sostenibili perché la "cura" sia equamente ed universalmente accessibile: da buone pratiche a sistema.**

**-L'attuazione di modelli organizzativi gestionali perché la "presa in carico" sia di prassi rispetto al complesso bisogno assistenziale della persona con Malattia Rara.**

# Empowerment

**individuale → organizzativo → di comunità**

MonitoRare
Terzo rapporto sulla condizione
della persona con
Malattia Rara in Italia

# Punti di forza del sistema delle Malattie Rare

- **L'accessibilità al farmaco**

- **Numero di farmaci aumentato in 5 anni di 26 unità (71 alla fine del 2016)**

- **Aumento dei consumi di farmaci orfani con un incremento di spesa passata dai 917 milioni di Euro del 2013 ai 1393 mln di Euro del 2016 (+ 52%)**

- **Il numero di Farmaci per Malattie Rare compreso nella Legge n.648/1996 è cresciuto dai 13 del 2012 ai 27 del 2016**

- **7.410.210 di Euro l'ammontare delle risorse del fondo AIFA ( di cui alla Legge 326/2003,Art.48) utilizzate per persone con malattia rara nel 2016.**

## Numero di farmaci complessivamente presenti nell'elenco di cui alla Legge 648/1996 per malattie rare negli ultimi 5 anni (dato al 31.12 di ogni anno) e numero di nuovi inserimenti in ciascuno degli ultimi 5 anni.

| Anno | Numero di farmaci in elenco Legge 648/1996 per le malattie rare (dato al 31.12 di ogni anno) | Numero di nuovi inserimenti nell'anno |
|---|---|---|
| 2012 | 13 | n.d. |
| 2013 | 21 | 11 |
| 2014 | 22 | 5 |
| 2015 | 27 | 5[156] |
| 2016 | 27 | 1 |

## Spesa e consumo di farmaci orfani in Italia negli ultimi 5 anni e confronto con il totale dei consumi e della spesa farmaceutica[153]

| | 2012 | 2013 | 2014 | 2015 | 2016 |
|---|---|---|---|---|---|
| Consumi di farmaci orfani (in DDD) (Mln) | 5,9 | 7.5 | 8.5 | 10.3 | 11,4 |
| % sul totale dei consumi | 0,2% | 0,3% | 0,3% | 0,4% | 0,4% |
| Totale della spesa per farmaci orfani (Mln €) | 671 | 917 | 1.060 | 1.212 | 1.393 |
| % sul totale della spesa | 3,50% | 4,67% | 5,31% | 5,49% | 6,12% |

## Numero di farmaci orfani autorizzati nell'Unione Europea e disponibili in Italia negli ultimi 4 anni (dato al 31.12 di ogni anno)

| | 2012 | 2013 | 2014 | 2015 | 2016 |
|---|---|---|---|---|---|
| Numero di farmaci orfani complessivamente disponibili in Italia (dato al 31.12) | 44 | 51 | 63 | 66 | 71[152] |
| Numero di farmaci orfani autorizzati dall'EMA inseriti nel registro comunitario | 61 | 68 | 81 | 87 | 91 |

## Esistenza di provvedimenti per la prescrizione, impiego ed erogazione off - label[149] di farmaci per le malattie rare per Regione

**Aumentano la qualità e la copertura dei sistemi di sorveglianza**

**Aumenta la copertura dei Registri regionali delle Malattie Rare**

**Aumentano gli studi clinici autorizzati sulle Malattie Rare dai 117 del 2013 (20%) ai 160 del 2016 (24,6%)**

**346 i Progetti di Ricerca sulle MR condotte dagli IRCSS per un valore di 15 mln di Euro**

**Le Regioni, come hanno fatto fino ad oggi, potranno garantire servizi e prestazioni ulteriori rispetto a quelle incluse nei LEA, utilizzando risorse proprie.**

**Commissione nazionale + Comitato permanente**

**c/o Ministero della Salute**

**Aggiornamento, monitoraggio, promozione dell'appropriatezza nel SSN**

**Verificare erogazione dei LEA**

# LEA: aggiornamento

**LEA: I Livelli Essenziali di Assistenza sono tutte le prestazioni e i servizi che il Servizio Sanitario Nazionale (SSN) è tenuto a fornire a tutti i cittadini, gratuitamente o dietro pagamento di una quota di partecipazione (ticket), con le risorse pubbliche raccolte attraverso la fiscalità generale (tasse).**

**DPCM 12 gennaio 2017** ⇦ **DCPM 29 novembre 2001**

**18 marzo 2017 G.U.**

**(Supplemento ordinario n.15) con i nuovi Livelli essenziali di assistenza,**

**con cui i LEA erano stati definiti per la prima volta.**

# DPCM 12 Gennaio 2017

**Allegati che ne sono parte integrante:**

- **definisce le attività, i servizi e le prestazioni garantite ai cittadini con le risorse pubbliche messe a disposizione dal Servizio sanitario nazionale;**
- **descrive con maggiore dettaglio e precisione prestazioni e attività oggi già incluse nei livelli essenziali di assistenza;**
- **ridefinisce e aggiorna gli elenchi delle malattie rare e delle malattie croniche e invalidanti che danno diritto all'esenzione dal ticket;**
- **innova i nomenclatori della specialistica ambulatoriale e dell'assistenza protesica, introducendo prestazioni tecnologicamente avanzate ed escludendo prestazioni obsolete.**

**RECEPIMENTO REGIONALE NUOVI LEA ENTRO 180 GIORNI DAL DECRETO**

**DGR 329/2018**

# La concedibilità gratuita dei farmaci a pazienti affetti da malattie rare

- ✓ **Tutti i Farmaci registrati sul territorio nazionale: classe A,H**
- ✓ **Farmaci di fascia C e Cnn – extra LEA ( solo su particolari disposizioni regionali)**

**Elemento di debolezza e variabilità nella lotta alle diseguaglianze**

# Farmaci inseriti negli elenchi speciali predisposti da AIFA secondo la Legge 648/96 e sue estensioni

**Quando NON vi è alternativa terapeutica valida**

**Consente di erogare a carico del S.S.N., previo parere dell'AIFA (Ex C.U.F. ora Commissione Consultiva Tecnico Scientifica (CTS)**

1. **Medicinali innovativi in commercio in altri Stati ma non sul territorio nazionale;**
2. **Medicinali non ancora autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica;**
3. **Medicinali da impiegare per una indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata.**

# PRESCRIZIONE DI FARMACI OFF- LABEL: WARNING

**Lo specialista PNR può prescrivere un farmaco off-label, inserendolo nel Piano Terapeutico quando:**

- ✓ **L'impiego proposto sia previsto negli elenchi speciali della Legge 648/96 e sue estensioni;**
- ✓ **L'impiego sia previsto da specifici PDTA regionali**
- ✓ **In casi non contemplati ai punti precedenti laddove siano comunque disponibili dati favorevoli di sperimentazioni di fase II**

# Assenza di dati disponibili

**ACQUISIZIONE DELL'AUTORIZZAZIONE DAL CENTRO REGIONALE MR**

**A seguito di invio, tramite la Farmacia Ospedaliera, della seguente documentazione:**

- **Piano Terapeutico**
- **Relazione Clinica**
- **Richiesta di utilizzo di farmaco off-label**

**Il trattamento farmacologico off-label necessita di specifico follow up secondo quanto stabilito dalla Legge 648/96.**

**Trasmissione con cadenza almeno semestrale al Referente Aziendale per le Malattie Rare e al Direttore di Farmacia di una relazione sulla casistica trattata, sui trattamenti prescritti per singolo paziente con indicazione dell'inizio di terapia e sui relativi esiti, indicando:**

- **Valutazione della terapia: nessuna risposta; risposta al momento non valutabile; risposta parziale , risposta completa;**

- **Reazioni avverse osservate in corso di terapia: no; sì (con descrizione ed inserimento della segnalazione di sospetta reazione avversa in Vigifarmaco)**

- **Fine trattamento /Esito :miglioramento, risposta assente o insufficiente, reazione avversa, decesso, altro (specificare).**

**L'UO di Farmacia provvederà a specificare, per ciascun paziente, la relazione pervenuta con eventuali dati di spesa di competenza relativamente alla terapia off-label e a trasmettere la spesa al Centro Regionale Malattie Rare.**

**I fondi per i farmaci/trattamenti per pazienti affetti da malattia rara non sono da considerarsi "EXTRABUDGET" bensì sono ricompresi nel finanziamento sanitario nazionale della spesa farmaceutica e partecipano alla definizione del "tetto di sistema nazionale e regionale**

**Solo tre principi attivi: Ivacaftor, cellule autologhe CD 34+, nusinersen rientrano nel fondo di 500 mln di Euro dedicato ai farmaci innovativi di cui alla Legge di stabilità 2017 a cui hanno accesso tutte le Regioni**

**Facilità di accesso alle cure in un quadro complessivo di appropriatezza**

**Fattori Intrinseci**

**Fattori Estrinseci**

Raccordo con il prescrittore

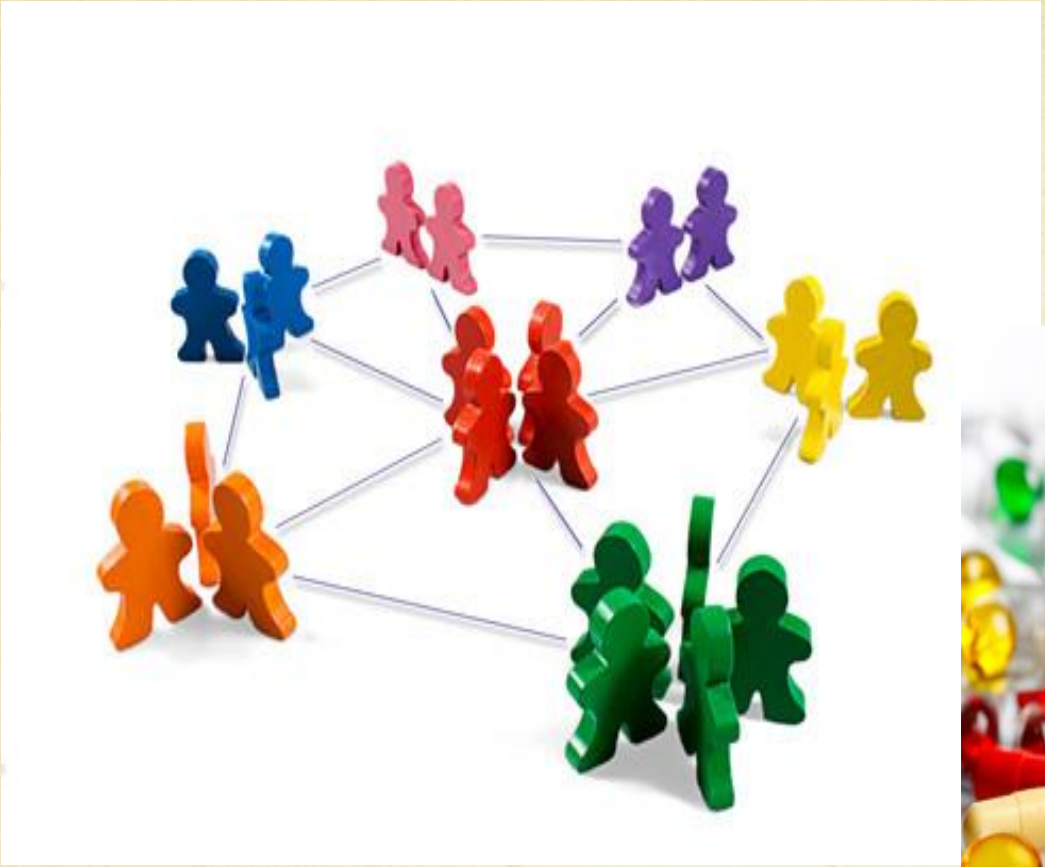
Chiara definizione dei percorsi

Problem solving

Skill individuali

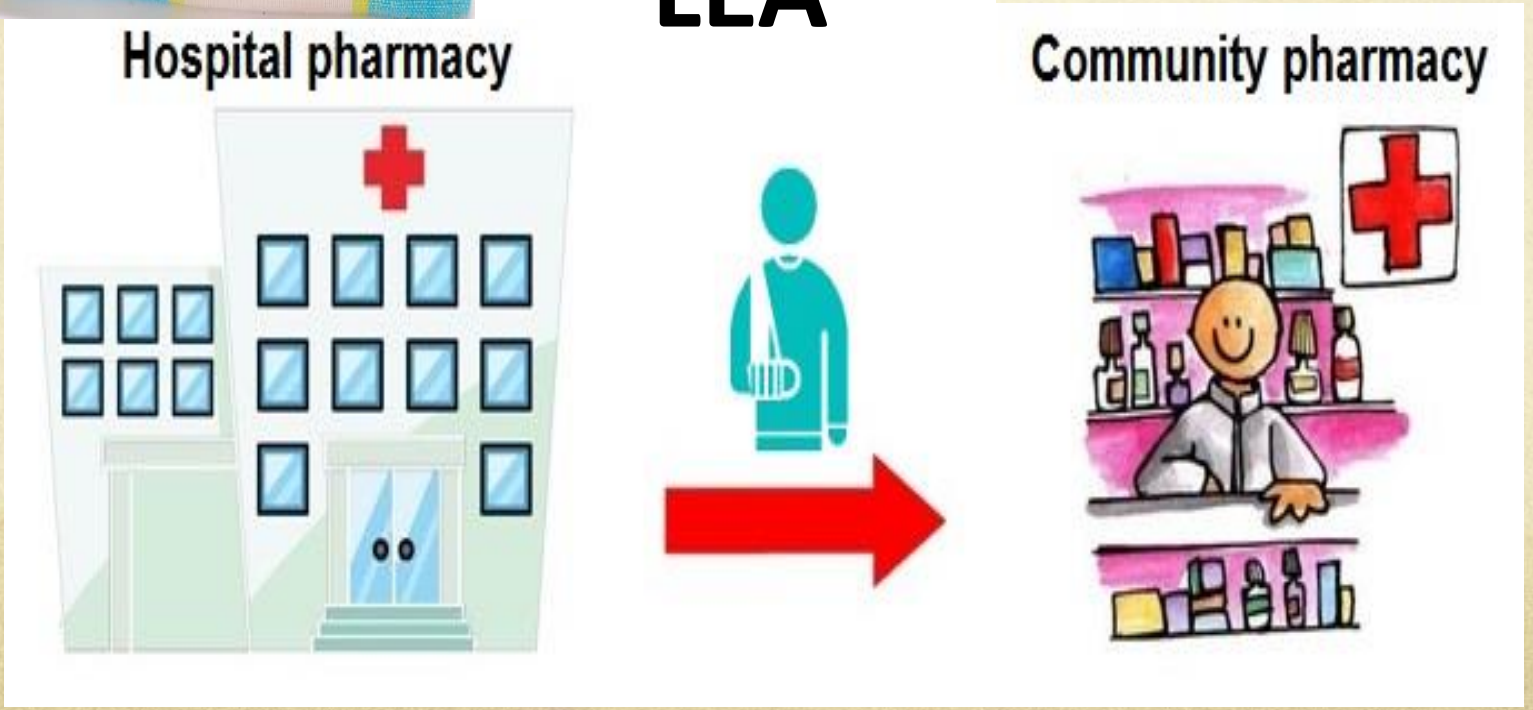
Procedure Amministrative

Corretta e puntuale alimentazione dei flussi



**Centri di prescrizione lontani da quelli di dispensazione**

# LEA



grazie
thank you
arigatô
gracias
merci
danke
shukran
dankie
tänan
hvala
takk
obrigado
faleminderit
kiitos
dank u
благодаря
хвала
спасибо
xièxiè
terima kasih
dhanyavād
mh'gōi
köszönöm
děkuji
ďakujem
dziękuję
teşekkür ederim
gràcies
paldies
diolch
mahalo
ngiyabonga
kop khun
grazzi
tack
choukrane
nandri
ačiū
multumesc
баярлалаа
дякую
a dank
kiitos
tänan
thank you
ačiū
mahalo
gracies
kiitos
хвала
hvala
dankie
kiitos
хвала
tänan
баярлалаа
hvala
shukran
danke
takk
thank you
děkuji
ďakujem
teşekkür ederim
dhanyavād
xièxiè
takk
terima kasih
děkuji
choukrane
tack
gracias
nandri
ačiū
obrigado
tak
tack
arigatô
merci
faleminderit
grazzi
choukrane
dziękuję
terima kasih
kiitos
danke
grazzi
merci
dhanyavād
mahalo
dziękuję
kop khun
baярлалаа
grazie
gràcies
merci
ngiyabonga
grazie
dank u
kiitos
дякую
mh'gōi
paldies
danke
diolch
köszönöm
děkuji
mh'gōi
dhanyavād
obrigado
mh'gōi
tak
hvala
dankie
takk
shukran
mahalo
hvala
terima kasih
спасибо
ngiyabonga
хвала
спасибо
kop khun
shukran
choukrane
tack
xièxiè
dankie
hvala
takk
thank you
děkuji
ďakujem
teşekkür ederim
dhanyavād
xièxiè
takk
terima kasih
děkuji
tack
a dank
kiitos
хвала
hvala
baярлалаа
takk
dankie
kiitos
tänan
thank you
ačiū
mahalo
gracias
hvala
shukran
danke
thank you
děkuji
ďakujem
diolch
kop khun
baярлалаа
dankie
takk
dankie
hvala
děkuji
dank u
tänan
hvala
gracias
faleminderit
hvala
nandri
terima kasih
дякую
thank you
ďakujem
teşekkür ederim
dhanyavād
xièxiè
takk
tack
terima kasih
děkuji
shukran
choukrane
tak
obrigado
gracias
nandri
ačiū
köszönöm
danke
grazzi
tack
gracias
merci
dhanyavād
спасибо
arigatô
grazzi
choukrane
dziękuję
terima kasih
kiitos
grazzi
baярлалаа
kop khun
спасибо
ngiyabonga
grazzi
mahalo
hvala
shukran
dziękuję
kop khun
paldies
ngiyabonga
grazie
gracias
merci
dhanyavād
mh'gōi
tak
hvala
dankie
takk
shukran
mahalo
hvala
terima kasih
спасибо
ngiyabonga
хвала
спасибо
kop khun
baярлалаа
grazie
gracias
merci
dankie
kiitos
dank u
tänan
ačiū
thank you
mahalo
köszönöm
a dank
tack
хвала
hvala
baярлалаа
hvala
gracias
faleminderit
shukran
danke
arigatô
xièxiè
dankie
kiitos
tänan
baярлалаа
takk
danke
thank you
děkuji
ďakujem
teşekkür ederim
dhanyavād
xièxiè
takk
terima kasih
děkuji
tack