

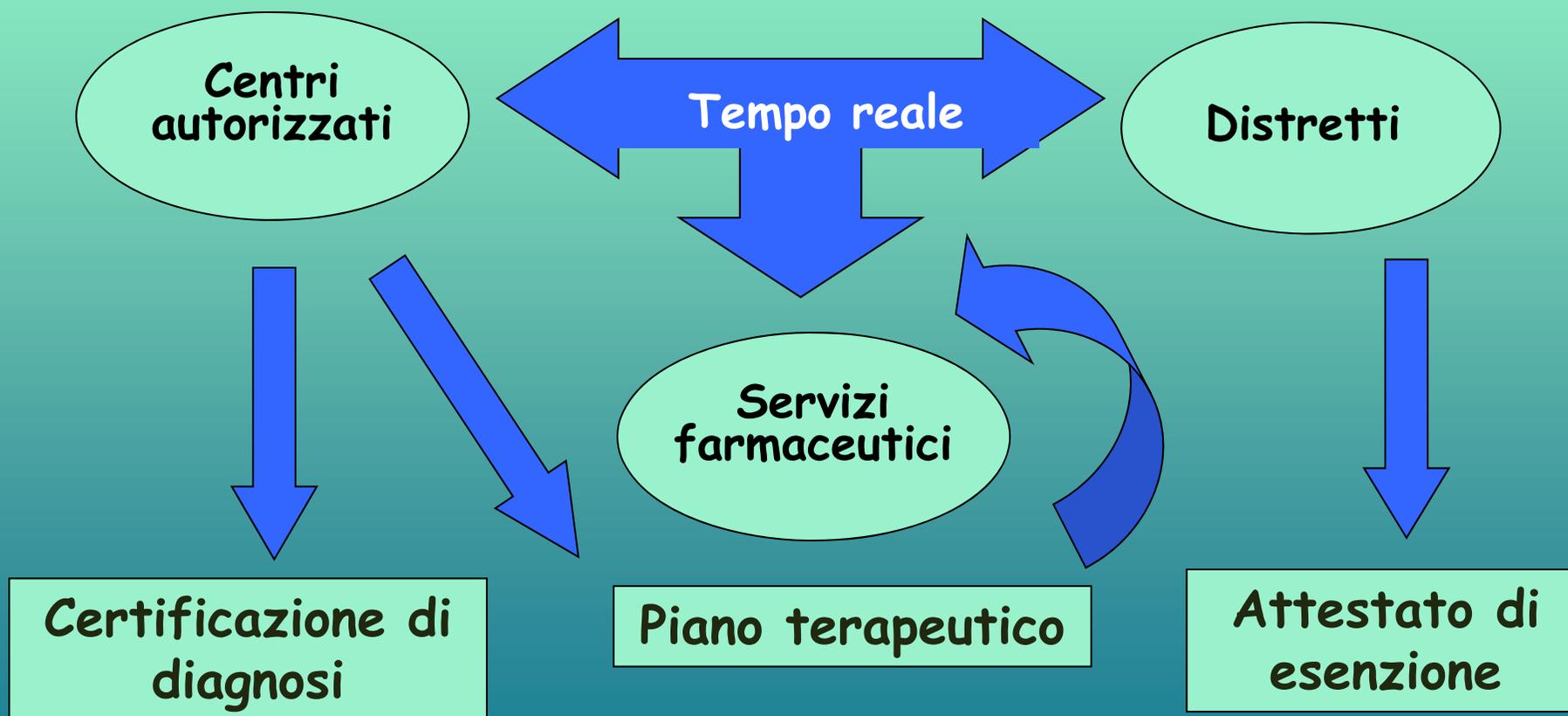
Farmaci per le malattie rare: l'esperienza della regione Emilia- Romagna

Matteo Volta

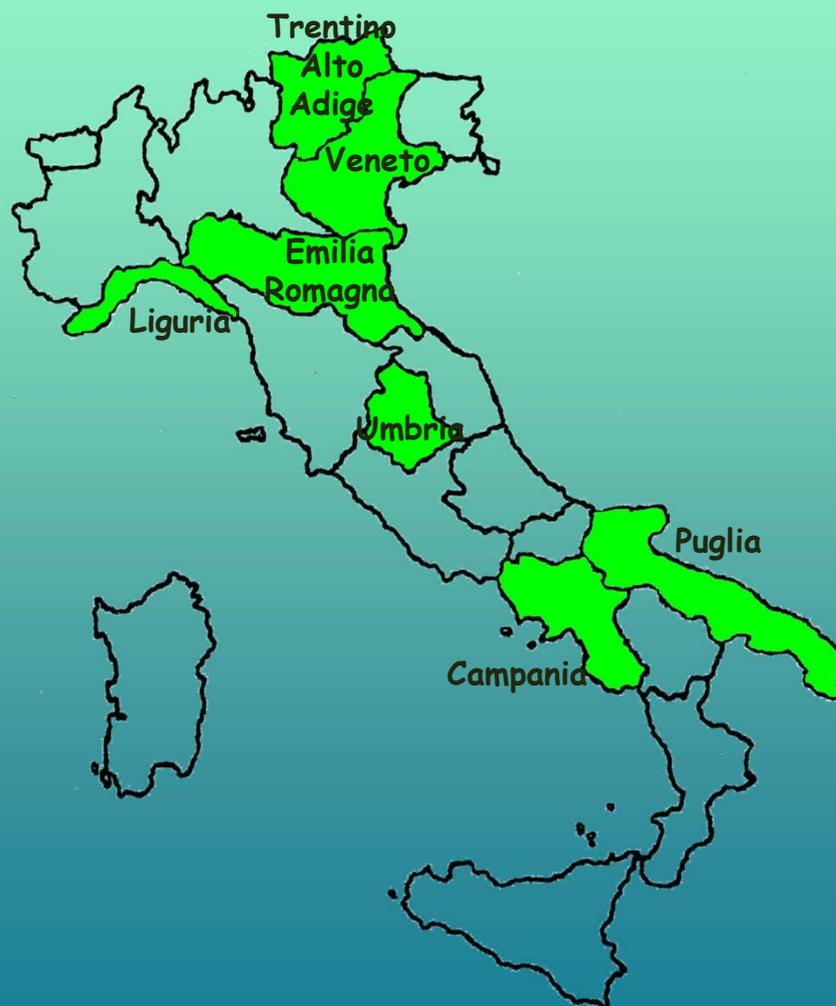
*Servizio Presidi Ospedalieri
Direzione Generale Sanità e Politiche Sociali
Assessorato Politiche per la Salute
Regione Emilia-Romagna*

Roma
3 giugno 2015

Il Sistema Informativo per le malattie rare (18 aprile 2011)



Registro regionale malattie rare: un “consorzio” di Regioni



Bacino di utenza

>22 milioni di
abitanti

(abitanti Romania
21 848 504)

Delibera Giunta Regionale n.25 del 17 gennaio 2005

Prevede due distinte modalità autorizzatorie sulla base del parere espresso dal Gruppo Tecnico:

- autorizzazione alla erogazione di prestazioni o farmaci non riconducibili ai LEA valida per tutti gli assistiti portatori della specifica patologia, da effettuarsi attraverso atto deliberativo
- autorizzazione alla erogazione di prestazioni o farmaci non riconducibili ai LEA valida per il singolo assistito, non generalizzabile ad altri assistiti portatori della medesima patologia, da effettuarsi attraverso lettera del Responsabile Servizio Presidi Ospedalieri

Tre livelli di erogazione dei farmaci prescritti con il piano terapeutico

1) LEA



2) INTEGRAZIONI CON I
PROTOCOLLI



3) INTEGRAZIONI PER
SPECIFICHE ESIGENZE
INDIVIDUALI



Il Sistema Informativo per le malattie rare (2011)

Piano Terapeutico Personalizzato

Inserimento / Modifica Prescrizione

1. Trattamenti extra-LEA prescrivibili gratuitamente in base a specifici protocolli regionali

Terapia	Nome commerciale	Posologia	Off-Label	Non-Sost
Scegli una terapia			<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Aggiungi farmaco

Farmacia Ospedaliera che eroga:

Farmacia del Centro Farmacia di Residenza Scegli una farmacia

2. Farmaci e parafarmaci (extra LEA a carico dell'assistito e LEA)

Principio Attivo	Nome Commerciale	Posologia	Nota-AIFA	Off-Label	Non-Sost
			<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Aggiungi farmaco

Farmacia Ospedaliera che eroga:

Farmacia del Centro Farmacia di Residenza Scegli una farmacia

3. Farmaci, parafarmaci, dispositivi e presidi extra-LEA essenziali ed insostituibili da richiedere al gruppo tecnico per le malattie rare per l'eventuale erogazione in esenzione dalla partecipazione al costo (per i residenti in Regione Emilia-Romagna)

Principio Attivo	Nome Commerciale	Posologia	Off-Label	Non-Sost	Galen.	Relaz.
			<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	mostra

Aggiungi trattamento in esenzione

Farmacia Ospedaliera che eroga:

Farmacia del Centro Farmacia di Residenza Scegli una farmacia

4. Preparati galenici

Principio Attivo	Nome Commerciale	Posologia	Off-Label	Non-Sost
			<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Altro P. attivo:

Aggiungi galenico

5. Altri trattamenti (riabilitativi, chirurgici, etc.)

Trattamento	Data

Aggiungi trattamento

Elenco PTP

Sezione 1: protocolli terapeutici regionali

2. LIVELLO REGIONALE

Sezione 2: farmaci e parafarmaci (extra LEA a carico dell'assistito e LEA)

1. LIVELLO NAZIONALE

Sezione 3: extra-LEA per richieste individuali

3. LIVELLO INDIVIDUALE

Sezione 4: galenici magistrali

Sezione 5: altri trattamenti

Tre livelli di erogazione dei farmaci prescritti con il piano terapeutico

1) LEA



2) INTEGRAZIONI CON I
PROTOCOLLI

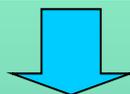


3) INTEGRAZIONI PER
SPECIFICHE ESIGENZE
INDIVIDUALI

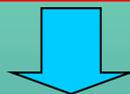


Protocolli farmacologici

Revisione sistematica della letteratura Evidence Based Medicine



Accordo tra i centri per le malattie rare



Delibere regionali di allargamento dei LEA



Farmaci approvati inclusi nei protocolli direttamente
sul sistema informativo

Piattaforma ad uso Gruppi di Lavoro

https://malattierare.rve.overnetwork.it/ - Login - Windows Internet Explorer fornito da Regione Emilia-Romagna

Registro Malattie Rare

Regione Veneto



Regione Emilia Romagna



Provincia Autonoma di Bolzano



Provincia Autonoma di Trento



Regione Liguria



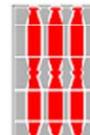
Regione Campania



Regione Puglia



Regione Umbria



Accesso

Progetto

UnRareNet

Esiste un sito web dedicato alle attività dei GdL per consentire il lavoro a distanza tra i partecipanti

COORDINAMENTO REGIONALE
REGISTRO DELLE Malattie Rare REGIONE VENETO [accedi »](#)

REGIONE VENETO
COMMISSIONE MCS [accedi »](#)

Piattaforma ad uso Gruppi di Lavoro

Home
Ricerche
Informazioni

Scheda malattia

Pareri del gruppo di lavoro

Torna alla ricerca

Scheda malattia

Malattia : COREA DI HUNTINGTON [\[vedi\]](#)

Gruppo di esenzione : Malattie del sistema nervoso-SNC

Codice esenzione : RF0080 Codice ICD9CM : 333.4

 [DEPRESSIVE_DISORDER.pdf](#)

 [Pharmacological_Management.pdf](#)

 [Pharmacological_Management2.pdf](#)

 [therapeutic_approach.pdf](#)

 [therapeutic_strategies.pdf](#)

I principi attivi approvati dal tavolo tecnico per le malattie neurologiche composto dai medici specialisti dei Centri Accreditati di Area Vasta sono:

- Olanzapina
- Aloperidolo
- Quetiapina

 [Stampa questa pagina](#)

Schede malattie,
materiale
bibliografico di
supporto, scambio
pareri dei clinici

Protocolli farmacologici Nuovi LEA regionali dgr 1832/10 e 54/13

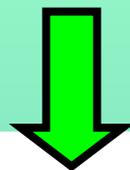
Malattie:

- Neurologiche
- Oftalmologiche
- Dermatologiche
- Metaboliche
- Cistite interstiziale



Protocolli farmacologici

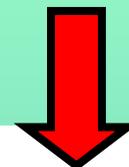
Liste positive e liste negative



ALLEGATO C1

PRINCIPI ATTIVI APPROVATI PER IL TRATTAMENTO DELLE MALATTIE RARE OFTALMOLOGICHE

Principi attivi approvati	Utilizzi approvati dal Tavolo Tecnico
Antibiotici topici: aminoglicosidi e fluorochinoloni quali norfloxacina e levofloxacina	Nelle patologie rare oculari che necessitano di intervento chirurgico: farmaci utilizzati nel post-operatorio
Cortisonici topici: desametasone e fluorometolone	Nelle patologie rare oculari che necessitano di intervento chirurgico: farmaci utilizzati nel post-operatorio
Fans topici: indometacina	Distrofie retiniche ereditarie Distrofie ereditarie della coroide
Lacrime artificiali a base di acido ialuronico, di carbossimetilcellulosa. Gocce e gel oculari, inclusi gli agenti iperosmotici topici per il trattamento dell'edema corneale	Distrofie ereditarie della cornea Ciclite eterocromica di Fuchs Atrofia essenziale dell'iride Cheratocono Degenerazioni della cornea Pemfigoide Benigno delle Mucose EEC Albinismo Malattia di Crouzon
Integrazione di Luteina	Distrofie retiniche ereditarie Distrofie ereditarie della coroide Emeralopia congenita Sindrome di Oguchi
Integrazione di Acido docosaesaenoico (DHA)	Distrofie retiniche ereditarie Distrofie ereditarie della coroide
Vitamina A (Retinolo Palmitato)	Malattia di Stargardt Retinite Pigmentosa



ALLEGATO C2

PRINCIPI ATTIVI NON APPROVATI PER IL TRATTAMENTO DELLE MALATTIE RARE OFTALMOLOGICHE

Principi attivi non approvati	Utilizzi esclusi dai protocolli dal Tavolo Tecnico
Rasagilina mesilato	Distrofie Retiniche Ereditarie e Distrofie Ereditarie della Coroide
Nilvadipina	Distrofie Retiniche Ereditarie e Distrofie Ereditarie della Coroide
Retinoidi a base di Isotretinoina	Distrofie Retiniche Ereditarie e Distrofie Ereditarie della Coroide
Integratori complessi a base di vitamine, sali minerali, carotenoidi, acidi grassi essenziali, enzimi, aminoacidi, estratti vegetali	Distrofie retiniche ereditarie, Distrofie ereditarie della coroide
Bevacizumab	Malattia di Eales
Immunoglobulina umana normale ev	Retinopatia autoimmune
Integratori complessi a base di Coenzima Q, Vitamina E, C, Astaxantina, Zeaxantina, Flavonoidi, Zinco, Fosfotidilserina, Estratti di mirtillo, Betacarotene	Retinite Pigmentosa Malattia Di Stargardt
Integratori con aminoacidi ramificati	Distrofia Di Meesmann Distrofia Di Cogan Distrofia Corneale Reticolare

Risparmiare lavorando sull'appropriatezza prescrittiva attraverso i protocolli

Spesa massima stimata per tutti i protocolli individuati (anche per protocolli in corso di approvazione)

1,75 milioni €
per anno/per milione di abitanti

Risparmio prevedibile grazie al controllo dell'appropriatezza prescrittiva (spesa stimata per trattamenti non approvati)

6,51 milioni €
per anno/per milione di abitanti

Tre livelli di erogazione dei farmaci prescritti con il piano terapeutico

1) LEA



2) INTEGRAZIONI CON I
PROTOCOLLI



3) INTEGRAZIONI PER
SPECIFICHE ESIGENZE
INDIVIDUALI



Determina n.8620 del 28 giugno 2004

- Costituisce il Gruppo Tecnico per le malattie rare, individuandone quali componenti:
 - Un pediatra;
 - Un genetista;
 - Un neurologo;
 - Un farmacologo;
 - Funzionari della Direzione Sanità e Politiche Sociali della Regione



Funzioni del Gruppo Tecnico

- Proporre l'istituzione di Reti assistenziali specifiche per patologia o gruppi di malattie (Hub & Spoke)
- Valutare l'integrazione dell'elenco dei Centri autorizzati
- Effettuare il monitoraggio delle attività dei Centri autorizzati
- Valutare l'erogazione a carico del SSR di farmaci, parafarmaci, cosmetici, dietetici e presidi non ricompresi nei LEA

Delibera Giunta Regionale n.25 del 17 gennaio 2005

Prevede due distinte modalità autorizzatorie sulla base del parere espresso dal Gruppo Tecnico:

➤ autorizzazione alla erogazione di prestazioni o farmaci non riconducibili ai LEA valida per tutti gli assistiti portatori della specifica patologia, da effettuarsi attraverso atto deliberativo

➤ autorizzazione alla erogazione di prestazioni o farmaci non riconducibili ai LEA valida per il singolo assistito, non generalizzabile ad altri assistiti portatori della medesima patologia, da effettuarsi attraverso lettera del Responsabile Servizio Presidi Ospedalieri

Dati Registro regionale malattie rare (al 30.04.2015): Piani terapeutici

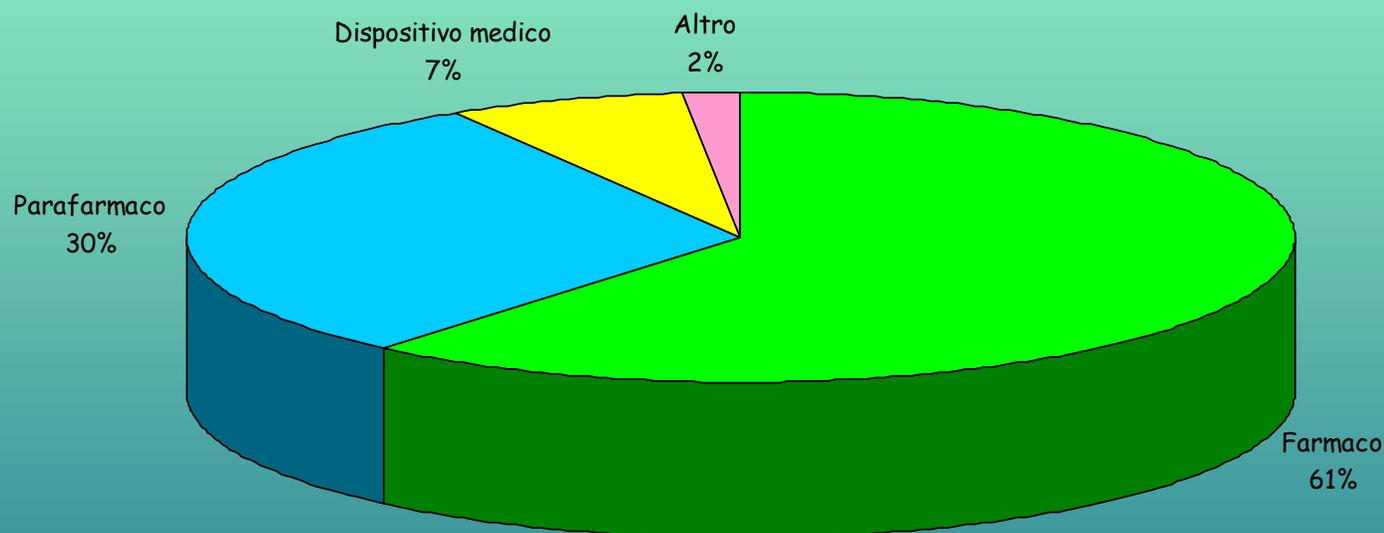
- Inseriti dal 2011 10855 piani terapeutici
- Per 3790 pazienti
- Attualmente 2192 piani terapeutici sono attivi
- In totale 29090 prescrizioni
- In media 2,7 prescrizioni/piano

Dati Registro regionale malattie rare: Piani terapeutici - Patologie

<i>Patologia/gruppo di patologie</i>	<i>Numero pazienti</i>	<i>% di riga</i>
SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA	230	12,16%
DISTROFIE RETINICHE EREDITARIE	166	8,77%
DISTURBI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEGLI AMINOACIDI	96	5,07%
SINDROME DI KLINEFELTER	87	4,60%
CONNETTIVITI INDIFFERENZIATE	77	4,07%
CISTITE INTERSTIZIALE	55	2,91%
ANEMIE EREDITARIE	47	2,48%
SINDROME DI LENNOX GASTAUT	46	2,43%
DERMATOMIOSITE	44	2,33%
MALATTIE SPINOCEREBELLARI	39	2,06%

Patologie per le quali è stato richiesto un parere (no. Pz in valore assoluto)

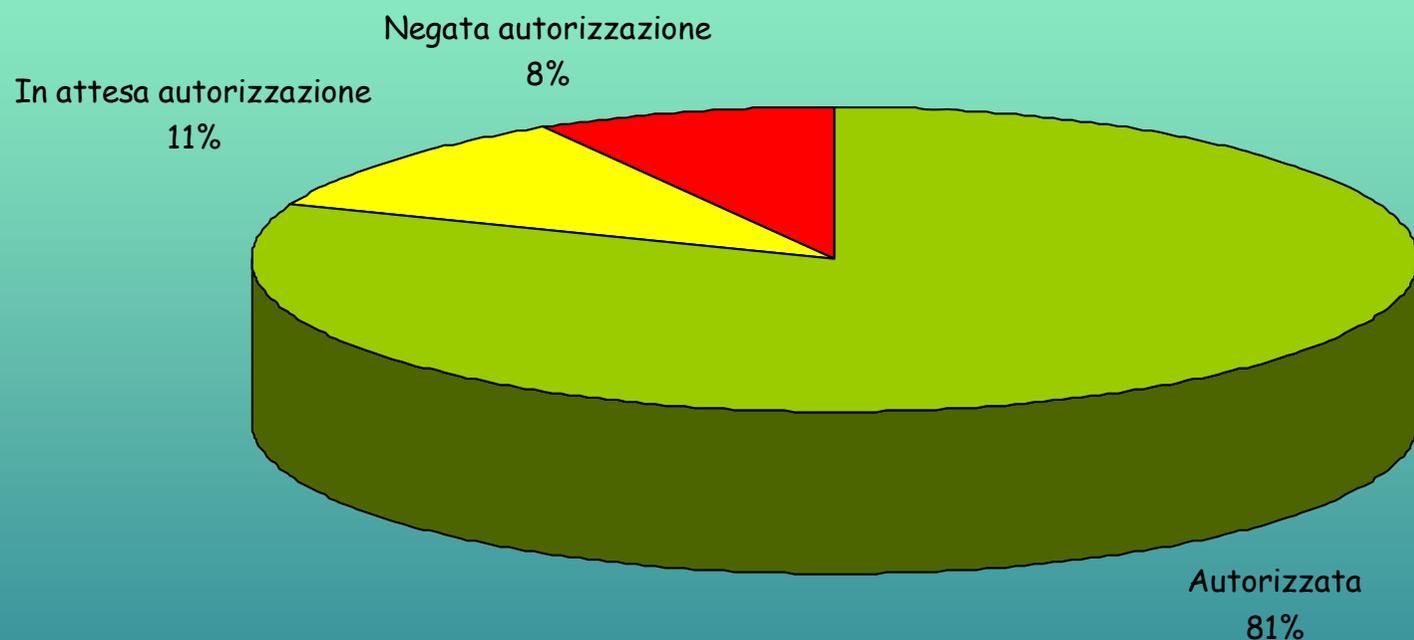
Dati Registro regionale malattie rare: Piani terapeutici - Tipologie di richieste di erogazione gratuita



Dati Registro regionale malattie rare: Piani terapeutici - Principi attivi richiesti

<i>Principio attivo</i>	<i>Numero richieste totali</i>
TESTOSTERONE	352
LEVOACETILCARNITINA CLORIDRATO	349
LEVOCARNITINA	170
ACIDO FOLICO	135
IDROXICLOROCHINA SOLFATO	112
RIBOFLAVINA (GALENICO)	99
METOTREXATO SODICO	96
OMEGA POLIENOICI (ESTERI ETILICI DI ACIDI GRASSI POLINSATURI)	96
CLOBAZAM	95
IMMUNOGLOBULINA UMANA NORMALE	86
UBIDECARENONE	73
RITUXIMAB	56

Dati Registro regionale malattie rare: Piani terapeutici - Pareri del GTMR



*Grazie per la
vostra attenzione!*



Matteo Volta

mavolta@regione.emilia-romagna.it