



# **LE MALATTIE RARE ESPERIENZE A CONFRONTO**

**Genova - 15 dicembre 2016**

## **IL REGISTRO DEL PIEMONTE**

## **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 predispongono modalità specifiche per la distribuzione dei farmaci, anche mediante la fornitura diretta da parte dei Servizi Farmaceutici pubblici.



**REGISTRO NAZIONALE**

## **Normativa Regione Piemonte**

### **D.G.R. 2 marzo 2004, n. 22-11870**

- ▶ Rete regionale delle Malattie Rare
- ▶ Centro Regionale di Coordinamento della Rete Regionale :  
Centro Multidisciplinare di Ricerche di Immunopatologia e Documentazione su  
Malattie Rare (CMID) - ASL T02

### **D.G.R. 12 aprile 2005, n. 38-15326**

- ▶ Tavolo Tecnico Specialistico a supporto del Centro di Coordinamento
  - ▶ Appropriatazza del percorso clinico-diagnostico e terapeutico
-

Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

## Farmaci erogati per i pazienti affetti da malattie rare

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

Distribuzione diretta – Servizi Farmaceutici delle ASR

Piano Terapeutico Regionale

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



**NO parafarmaci**



**Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte**

## **Accesso al Registro Regionale delle Malattie Rare**

**Consentito a Medici Specialisti e Farmacisti Ospedalieri**

**<http://www.sistemapiemonte.it/cms/pa/sanita/servizi/251-registro-pazienti-affetti-da-malattie-rare>**



**download**



**Modulo per la richiesta di  
attivazione/revoca dell'accesso al sistema**

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

## Distribuzione diretta

Applicativo  
**MARARE**



**Piano Terapeutico  
Regionale**

DATI PAZIENTE	
Nome :	Cognome :
Codice fiscale :	Età :
Setto : M <input checked="" type="checkbox"/> F <input type="checkbox"/>	ASL di appartenenza dell' assistito : ASL TO2
Comune : TORINO (TO)	Regione : PIEMONTE

DATI PIANO TERAPEUTICO	
Identificativo piano terapeutico : 13696	Codice esenzione : RL0040 - 00
Medico specialista presrittore Dr./Prof. _____	

Programma Terapeutico	
Farmaco	Posologia
CLORESOL 0,05% UNG. 30G	1 App - 3 v./ mese

Note :

I Farmaci prescritti nel Piano Terapeutico sono necessari per la cura della Malattia Rara, delle sue complicanze o degli effetti collaterali della terapia di base. Se non ulteriormente specificato, i farmaci indicati sono sostituibili con formulazioni contenenti gli stessi principi attivi, agli stessi dosaggi e che prevedano un'analoga via di somministrazione.

Data compilazione piano terapeutico : 14/04/2011  
Data inizio validità piano terapeutico : 14/04/2011  
Data fine validità piano terapeutico : 14/04/2012  
Durata prevista del trattamento (2) : 12 MESI

Prima prescrizione :  Prosecuzione della cura :  Modifica piano terapeutico :

Tentato e firma del medico presrittore (3)  Dr. Andrea BORTON Medico Mar. U.I. Dr. Andrea BORTON	Titolo del centro Farmacia Ospedaliera ASL TO 5 Piazzale S. Giovanni 10128 TORINO
--	---

(1) Medico di Medicina Generale o Pediatra di libera Scelta  
(2) Non oltre 12 mesi. Per eventuale prorogamento della terapia redigere una nuova scheda  
(3) I dati identificati del medico devono essere tali da poter permettere eventuali tempestive comunicazioni.

Stampato il 14 apr 2011 alle 12:19:13      Piano terapeutico      Pagina 1 di 1

**Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte**

**...e i PT di altre Regioni o di altri Stati????**

**Circolare Regionale Prot. 1253/UC/SAN del 13/06/07**

**Vengono sottoposti all'esame del Centro di Coordinam.  
che verifica entro 5 gg lavorativi**



**se il Centro Prescrittore fa  
parte dei Presidi accreditati per  
la diagnosi e la cura delle MR**



**l'appropriatezza della prescrizione  
per PT esteri**



**inserisce il PT nel Registro Regionale  
delle Malattie Rare (MaRare)**



**Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte**

## **Farmaci esteri**

**D.M. 11 febbraio 1997 e s.m.i.**

- ▶ **Importazione in Italia di farmaci autorizzati all'estero**
    - ▶ **Trattamento non superiore a 90 gg**
    - ▶ **In mancanza di valida alternativa terapeutica**
    - ▶ **Assunzione di responsabilità da parte del Medico**
    - ▶ **Consenso informato del paziente**
-

# Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

## Modulo per l'importazione di farmaci esteri

**Mod. A2**  
(pazienti già individuati)

*Il presente modello dev'essere redatto su carta intestata dell'ente richiedente e compilato tassativamente in ogni sua parte*

- Al Servizio Farmaceutico dell'Azienda ospedaliera di \_\_\_\_\_
- Al Ministero della Sanità - Ufficio di Sanità Aeroportuale di \_\_\_\_\_
- Alla Dogana Italiana \_\_\_\_\_

Data, \_\_\_\_\_

**Oggetto:** Richiesta di importazione di un Farmaco non registrato in Italia da utilizzarsi in ambito ospedaliero come da decreto 11 febbraio 1997

Il sottoscritto medico Dr. \_\_\_\_\_  
operante presso il Reparto / Divisione di \_\_\_\_\_

**chiede**

di poter importare tramite la ditta....., il seguente farmaco:

Principio attivo: \_\_\_\_\_  
Nome commerciale: \_\_\_\_\_  
Forma farmaceutica: \_\_\_\_\_  
Dosaggio specialità: \_\_\_\_\_ Confezione da (n° di unità per confezione): \_\_\_\_\_  
Numero di confezioni richieste: \_\_\_\_\_  
Posologia prescritta: \_\_\_\_\_  
Prodotto dalla ditta: \_\_\_\_\_  
Titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio: \_\_\_\_\_

Il farmaco è regolarmente registrato nel Paese estero di provenienza:      SI          NO   

Tale farmaco è indispensabile ed insostituibile a scopo diagnostico/terapeutico per il trattamento del/dei pazienti: \_\_\_\_\_  
(nominativo o iniziali e data di nascita)

affetto/i da: \_\_\_\_\_

esigenze particolari che giustificano il ricorso al farmaco: \_\_\_\_\_

**DICHIARA ALTRESÌ CHE IL FARMACO:**

- non è sostituibile con altri farmaci registrati in Italia;
- viene importato nella quantità adeguatamente corrispondente alle esigenze terapeutiche del/i paziente/i;
- non contiene sostanze stupefacenti o psicotrope, non è sangue umano e/o suoi derivati;
- verrà impiegato sotto la sua diretta responsabilità;
- le generalità e i documenti relativi al consenso informato del/i paziente/i (in caso di minori o incapaci, di chi esercita la patria potestà) **sono** in possesso dello scrivente medico curante.

\_\_\_\_\_  
**Il Medico Curante**  
*firma per esteso e timbro leggibile*

\_\_\_\_\_  
**Il Dirigente del Servizio Farmaceutico**  
*firma per esteso e timbro leggibile*

**Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte**

## **Richieste ospedaliere di farmaci esteri**

### **....alcuni esempi**

- ▶ **Carisoprodol 350 mg 100 cpr - fibromialgia**
- ▶ **Dapsone 50 mg 100 cpr -vasculite**
- ▶ **Evoxac 30 mg 100 cpr - cevimelina - sindrome di Sjogren**
- ▶ **Mepacrine 100 mg 50 cpr - quinacrina - lupus**
- ▶ **Spanidin 100 mg fiala - gusperimus - granulomatosi di Wegener**
- ▶ **Trientine 300 mg cps - sindrome di Wilson neuropatica**

Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

## Farmaci ai sensi della Legge 648/96\*

### Compiti del MEDICO



- ▶ Attenersi alle indicazioni del provvedimento di inserimento specifico
- ▶ Rilevamento e trasmissione dei dati di monitoraggio clinico
- ▶ Acquisizione del consenso informato del paziente

### Compiti del FARMACISTA OSPEDALIERO



- ▶ Verifica appropriatezza alle indicazioni del provvedimento ministeriale
- ▶ Rilevamento e trasmissione dei dati di spesa alla Regione

\*Elenco disponibile sul sito: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/content/legge-64896>

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

### **Farmaci ai sensi della L. 648/96**

Idebenone – miocardiopatia nei paz affetti da Atassia di Friedreich

Idursulfase – mucopolisaccaridosi di tipo II (RCG140)

Interferone alfa-ricombinante – forme refrattarie del Morbo di Behcet  
(RC0210)

Trientine– MORBO DI WILSON (RC0150)

---

**Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte**

## **Determina AIFA 16 ottobre 2007**

**Estensione di indicazione relative ad usi consolidati  
sulla base di evidenze scientifiche presenti in letteratura**

**Integrazione dell'elenco dei farmaci di cui alla L. 648/96**

- ▶ **Tumori nell'adulto e nel bambino**
- ▶ **Neoplasie e patologie ematologiche**
- ▶ **Patologie neurologiche**
- ▶ **Trattamento correlato ai trapianti**
- ▶ **Farmaci pediatrici**
- ▶ **Radiofarmaci**

**\*Disponibile sul sito:  
<http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/legge-64896>**

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

### **Determina AIFA 16 ottobre 2007**

#### Compiti del MEDICO

- ▶ Attenersi alle indicazioni previste
- ▶ Acquisizione del consenso informato del paziente
- ▶ Rilevamento e trasmissione ~~dei dati~~ di monitoraggio clinico



#### Compiti del FARMACISTA OSPEDALIERO

- ▶ Verifica appropriatezza
- ▶ Rilevamento e trasmissione ~~dei dati~~ di spesa alla Regione



Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

**Determina AIFA 16 ottobre 2007 e s.m.i.**  
**In particolare sono stati inseriti.....**

**Ciclosporina - Allegato 3**

malattie autoimmuni gravi

**Azatioprina e Ciclofosfamide - Allegato 4**

malattie autoimmuni a carattere neurologico:  
miastenia gravis

**Idrochinidina cloridrato - Allegato 8**

Sindrome di Brugada

Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

## **Farmaci off-label**

**Finanziaria 2008 – Legge 24 dicembre 2007 n. 244  
art. 2 comma 348**

*“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 non siano disponibili almeno dati favorevoli di sperimentazione clinica di fase seconda.”*

**DL n.36, del 20/03/14, approvato il 14 maggio 2016: “...utilizzo dei farmaci off-label secondo criteri di economicità e appropriatezza...”**

---

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

### Farmaci off-label

#### Compiti del MEDICO

- ▶ Assunzione di responsabilità
- ▶ Acquisizione del consenso informato
- ▶ Prescrizione di questi farmaci solo sulla scorta di adeguato supporto scientifico



#### Compiti del FARMACISTA OSPEDALIERO

- ▶ Verifica appropriatezza e mancanza di valida alternativa regolarmente autorizzata
- ▶ Rilevamento e trasmissione dei dati di prescrizione e di spesa alla Commissione Farmaceutica Aziendale Interna per l'Appropriatezza (Circolare Regione Piemonte prot. 7380/29 del 21 maggio 2007)



Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

## **Richieste ospedaliere di farmaci off-label per pz afferenti al Centro Regionale di documentazione e immunologia delle Malattie Rare**

- ▶ Immunoglobuline EV      Pemfigo – Granulomatosi di Wegener –  
Sindrome APS – Vasculite
  - ▶ Rituximab                      Crioglobulinemia – Granulomatosi di  
Wegener- LES – vasculite-  
glomerulonefrite membranosa
  - ▶ Acido micofenolico          Alveolite estrinseca
-

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

### IG Vena

## Determinazione Regionale n. 131 del 18/02/2011

Modulo di Richiesta Ig Vena

DATE ANAGRAFICI ASSISTITO

COGNOME \_\_\_\_\_ NOME \_\_\_\_\_

ASL RESIDENZA ALTRA REG.

DATA DI NASCITA \_\_\_\_\_ LUOGO DI NASCITA \_\_\_\_\_

CODICE FISCALE \_\_\_\_\_

RESIDENTE A \_\_\_\_\_

IN VIA/C.SO/P.ZZA \_\_\_\_\_ N° \_\_\_\_\_

MEDICO DI BASE /PEDIATRA DI LIBERA SCELTA \_\_\_\_\_

---

INDICAZIONE PATOLOGIA

CODICE ICD 9-CM (SE PRESENTE) \_\_\_\_\_

POSIOLOGIA / DIE \_\_\_\_\_ DURATA TRATTAMENTO \_\_\_\_\_

FARMACO USATO \_\_\_\_\_

IN LABEL  
 OFF LABEL

NOTE: Nel caso di utilizzo "off label", al di fuori delle indicazioni previste dall'alleato o questo moduli occorre allegare i riferimenti scientifici.  
 Nel caso di prescrizione "off label" il medico presrittore dichiara di assumere la responsabilità del trattamento e di avere acquisito il consenso informato del paziente, del quale risulta che egli è consapevole degli aspetti relativi alla mancata valutazione del farmaco da parte del Ministero della Salute per l'indicazione, i dosaggi e le vie di somministrazione utilizzati e lo scatenarsi di uno valido alternativa terapeutica.

DATA \_\_\_\_\_ TIMBRO E FIRMA \_\_\_\_\_

---

Spazio riservato alla farmacia

CODICE	QUANTITA'	COSTO UNITARIO	COSTO/DIE	COSTO/CICLO

- ▶ Obbligatorietà dell'indicazione della diagnosi con codice ICD9-CM
- ▶ Registrazione in File F

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

### IG Vena

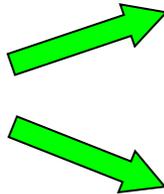
## Determinazione Regionale n. 131 del 18/02/2011

ELENCO DIAGNOSI ICD9-CM PER L'IMPIEGO DI IG VENA

Gruppo nosologico	Patologia o gruppo	ICD9-CM	Gruppo nosologico	Patologia o gruppo	ICD9-CM	
Malattie infettive	Sindrome di Guillain-Baré	136.1	Patologie del sistema circolatorio	Poliarterite nodosa	446.0	
	Sindrome postpoliomielitica	138		Sindrome di Kawasaki	446.1	
Neoplasia	Leucemia linfatica cronica a cellule B	204.1		Angioite da ipersensibilità	446.2	
	Ipotammoglobulinemia non specificata	279.00	Granulomatosi di Wegener	446.4		
Malattie endocrine, della nutrizione, metaboliche e del sistema immunitario	Altri deficit selettivi di immunoglobuline	279.03	Patologie del sistema genitourinario	Sindrome nefrosica con lesioni da glomerulonefrite membranosa	581.1	
	Ipotammoglobulinemia congenita	279.04		Dermatosi bullose	694	
	Immunodeficienza con IgM aumentate	279.05		Pemfigo	694.4	
	Immunodeficienza comune variabile	279.06		Pemfigoide	694.5	
	Anemia emolitica autoimmune	283.9		Pemfigoide benigno delle membrane mucose	694.6	
	Anemia aplastica	284.0-9		Lupus eritematoso sistemico	710.0	
	Anemia di Blackfan-Diamond	284.01		Dermatomiosite	710.3	
	Emofilia acquisita da anticorpi anti-fattore VIII	286.5		Patologie del tessuto muscoloscheletrico e del tessuto connettivo	Polimiosite	710.4
	Malattia di von Willebrand acquisita	286.5			Blocchi cardiaci congeniti	746.86
	Patologie del sangue	Porpora allergica (Sindrome di Schönlein-Henoch)		287.0	Malattia emolitica del neonato	773.0-5
Porpora trombocitopenica idiopatica		287.31	Trombocitopenia alloimmune/autoimmune neonatale	776.1		
Refrattarietà alla trasfusione di piastrine		287.4	Neutropenia neonatale transitoria	776.7		
Neutropenia immunomediata		288.09	Condizione specifiche del periodo perinatale	Miopatia infiammatoria sintomatica in malattie classificate altrove	359.6	
Neutropenia immunomediata dell'adulto		288.09		Miosite da corpi inclusi	359.71	
Sindrome da anticorpi antifosfolipidi		289.81				
Encefalite acuta disseminata (ADEM)		321.61				
Sindrome dell'uomo rigido		333.91				
Sclerosi multipla		340				
Neurite ottica		341.0				
Mielite acuta (trasversa) SA1	341.20					
Mielite acuta (trasversa) in condizioni patologiche specificate altrove	341.21					
Altre malattie demielinizzanti del sistema nervoso centrale	341.8					
Patologie del sistema nervoso e degli organi di senso	Malattia demielinizzante del sistema nervoso centrale, non specificata	341.9				
	Epilessia infantili intrattabili (Spasmi infantili con epilessia intrattabile)	345.61				
	Polineuropatia idiopatica progressiva	356.4				
	Altre specificate neuropatie periferiche idiopatiche	356.8				
	Neuropatia periferica idiopatica non specificata	356.9				
	Polineuropatia demielinizzante infiammatoria cronica	357.81				
	Miastenia grave senza (acuta) esacerbazione	358.00				
	Miastenia grave con (acuta) esacerbazione	358.01				
	Sindrome miastenica di Lambert-Eaton (Sindromi miasteniche in patologie classificate altrove)	358.1				

## Determinazione Regionale n. 132 del 18/02/2011

**Bosentan**



**IPERTENSIONE ARTERIOSA POLMONARE**

**ULCERE CUTANEE IN SCLEROSI SISTEMICA  
PROGRESSIVA**

- ▶ Obbligatorietà dell'indicazione della diagnosi con codice ICD9-CM
- ▶ Adeguamento dell'applicativo MARARE
- ▶ Registrazione in File F

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

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

NOME MEDICINALE GALENICO	COMPOSIZIONE	FORMA FARMACEUTICA	INDICAZIONE TERAPEUTICA	CODICE PATOLOGIA RARA	ASL/ASO	LITERATURA A SUPPORTO	CODICE REGIONALE GALENICO	ATC	TARIFFA (Euro)
Acido acetilsalicilico 20 mg	30	capsule	Sindrome di Kawasaki	R00040	ASL TO 3	Treatment of acute Kawasaki disease: aspirin's role in the acute stage revisited. Huang KS, Huang KP, Lai CC, Huang TC, Lee CL, Huang SM. Pediatrics. 2004 Dec;114(6):e99-103	GROCRG001	C01E	8,1
Baclofene 1 mg	30	cartina	disturbi del metabolismo e degli amminoacidi/cistina	RCG040	ASL TO 2 Giovanni Bosco	"Orally administered drugs in the treatment of spasticity" Cepanadz J. J. Rev Neurol. 2003 Jul 1;153(7):70-4	GROCRG002	A16A	8,4
Betaina base 1200 mg	30	cartine	omocistinuria	RCG048	ASL NO	Effect of betaine on homocysteine levels in the treatment of patients not responsive to pyridoxine. New Eng J Med. 2005; 448:493, 1993	GROCRG004	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	Menaldi Mech. Atrofia congenita - anomalia 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	Menaldi Mech. Atrofia congenita - anomalia nel trasporto renale	GROCRM008	D11	8,50 (30 cps) / 17,8 (100cps)
Ciclosporina 0,5%	10 ml	collirio	perifongite benigna delle mucose	RL0030	ASL VC Vercelli	Menaldi Mech. - Atrofia congenita - anomalia nel trasporto renale	GRFSRL007	S01K	18,5
Citrofallina 500 mg	30	capsule	intolleranza alle proteine con leucina	RCG048	ASL NO	Witkova H, Kato T, Mariani M, Woloszew K, Bai M. Oral administration of arginine and citrulline in the treatment of lysinuric protein intolerance. Tokoku J Exp Med. 1994 Jan;142(1):15-24	GROCRG008	A12C	11,2
Clobetasolo 0,5mg in idrossietilcellulosa 4% anaparsi	100 g	unguento	perfigo-orale	RL0030	ASL TO 5 Giovanni Battista, ASL 19 AT, ASD Maggiore della Carità Novara	in the Treatment of Patients with Bullous Pemphigoid: A Multicenter Randomized Study. Joly P, et al. Invest Dermatol. 2009 Jun 29; doi:10.1038/ajd.2008.472 The role of topical corticosteroids in bullous pemphigoid in the elderly. Joly P, Fontaine J, Roujeau JC. Drugs Aging. 2005;23(7):57-62	GRTFRL009	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" Key, R.A. The Cochrane Library. 2007 "Clinical use of creatine in neuromuscular and neurodegenerative disorders" Tamopolsky MA. Subcell Biochem. 2007; 46:163-204	GROCRF010	M89	19
Creatina Monoidrato 1 g	30	cartine	miopatia congenita ereditaria	RFG070	ASL TO 2 Maria Vittoria	Sheffer JM, et al. A clinical trial of creatine in ALS. Neurology. 2004;63:1856-61. Shenk AM, Brazier GA. Clinical pharmacology of the dietary supplement creatine monohydrate. Pharmacol Rev. 2001;53:181-78. www.farmacovigilanza.org-impiego_ creatine orale	GROCRF011	M89	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" Key, R.A. The Cochrane Library. 2007 "Creatine monohydrate as a therapeutic ad in muscular dystrophy" Poznanis JF, Fialkow RL. Nutr Rev. 2008 Feb;66(2 Pt 1):80. Clinical use of creatine in neuromuscular and neurodegenerative disorders Tamopolsky MA. Subcell Biochem. 2007; 46:183-204	GROCRF012	M89	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	RFG080	ASL TO 3	Spasticity: finding exercise and creatine in patients with Charcot-Marie-Tooth disease. Chady RD, Graham L, Tamopolsky MA, Ulfink H, Foster RA. Muscle Nerve. 2004 Jul;30(1):69-76	GROCRF013	N07	8,5
Creatina 2,5 g	30	cartine	SLA	RFP100	ASL TO 3	Cellular energy impairment in neurodegenerative diseases. Adhikari PJ, Seal MF. Neuroscientist. 2008;18(4):275-90 Creatine monohydrate in ALS: effects on strength, fatigue, respiratory status and ALPFB. Rowland J, King SM, Jackson CE, Bedlack RS, Baslin RJ, Dick A, Phillips LH, Chapin J, Galbraith DF, Liu JS. Amyotroph Lateral Scler. 2009 Oct;14(5):296-72	GROCRF014	N07	8,7

**Prontuario  
(PTR GAL MR)**

**63 preparazioni  
galeniche**

**30 patologie rare**

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

### Codifica dei galenici magistrali

- |   |   |
|---|---|
| ▶ Galenico Magistrale                   | G   |
| ▶ Farmaco per Malattia Rara /Orfano     | R /O  |
| ▶ Via di somministrazione               | O (os) - T(topico) - F(oftalmico)   |
| ▶ Forma farmaceutica                    | C(cartina-cachet-cps-cpr)<br>P(pomata-unguento-crema...)<br>S (soluzione)- E(emulsione) |
| ▶ Codice esenzione malattie rare        | RA (malattie infettive e parassitarie)<br>RF(sistema Nervoso e organi di senso)         |
| ▶ Numero progressivo della preparazione |   |

Ubidecarenone 300 mg capsule  GROCRF043

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

# Scheda di allestimento

### UBIDECARENONE CAPSULE

#### COMPOSIZIONE PER UNITA' (ad esempio da 300 mg)

Ubidecarenone F.U. ....	300 mg
Magnesio stearato F.U. ....	1,5 mg
Silice F.U. ....	1 mg
Talco F.U. ....	1.5 mg

#### MODALITA' DI PREPARAZIONE

- Dose per 100 capsule di tipo 00 preparate con incapsulatrice manuale, sotto cappa chimica:
- Pesare 30 gr di Ubidecarenone, 0,1 g di silice, 0,15 g di talco e 0,15 gr di magnesio stearato
  - Dal momento che l'ubidecarenone è fotosensibile tenere esposto alla luce il principio attivo per il solo tempo necessario per eseguire la preparazione.
  - Miscelare dapprima gli eccipienti in mortaio e poi aggiungere, mescolando uniformemente, l'ubidecarenone con il metodo della diluizione progressiva.
  - Miscelare uniformemente la polvere
  - Disporre le capsule del colore prescelto sull'opercolatrice manuale, dividerle e riempirle uniformemente con la miscela di polvere, aiutandosi con l'apposita spatola.
  - Chiudere le capsule.
  - E' preferibile usare lo stesso colore individuato per questa preparazione.
  - Confezionare in appositi contenitori ed etichettare dopo aver eseguito gli appositi controlli di qualità.

#### AVVERTENZE

- Lavorare sotto cappa chimica
- Tenere l'ubidecarenone al riparo dalla luce
- Indossare camice, cuffia, guanti
- Se si lavora sotto cappa non protetta da vetro, indossare anche mascherina e occhiali.

#### STABILITA' E CONSERVAZIONE

- Stabilità: 6 mesi
- Conservazione a Temperatura ambiente, in luogo protetto dall'umidità e dalla luce.
- Tenere fuori dalla portata dei bambini

#### INDICAZIONE (in accordo con il clinico):

Sindrome di Melas (Codice malattia rara: RN0710)  
Corea di Huntington (Codice malattia rara: RF0080)  
Sclerosi Laterale Amiotrofica (Codice malattia rara: RF0100)

TIPO DI RICETTA: Piano Terapeutico

ETICHETTA:

UBIDECARENONE 300 mg di tali 100	
Per capsula: Ubidecarenone 300 mg; magnesio stearato, silice, talco.	
Medico: .....	Paziente Sig..... Ric.
N° .....	
Data prep .....	Data limite di utilizzo .....

#### CONTROLLO DI QUALITA':

- controllo del confezionamento e in particolare della sua tenuta,
- uniformità di massa che deve essere accertata su un campione la cui dimensione dipende dalla consistenza numerica delle dosi forma. Nessuna dose forma del campione dovrà discostarsi dal 10 per cento del peso medio.
- quantità o numero di dosi forma da dispensare.

#### RIFERIMENTI DI LETTERATURA:

- "Coenzima Q e malattie mitocondriali: dalla biochimica alle implicazioni terapeutiche" Toscano A, Musumeci O, *Neurol Sci* 2004;25:S317-319;
- "Muscle coenzyme Q10 concentrations in patients with probable and definite diagnosis of respiratory chain disorders" Montero R, Artuch R, Briones P, Nascimento A et al *Biofactors*, 2005; 25(1-4):109-115;
- "Cerebellar ataxia with coenzyme Q10 deficiency: diagnosis and follow-up after coenzyme Q10 supplementation" Artuch R, Brea-Calvo G, Briones P, Aracil A et al. *J Neurol Sci* 2006;246 (1-2):153-8.
- "Coenzyme Q10: a review of its promise as a neuroprotectant" Young AJ, Johnson S, Steffens DC, Doraiswamy PM., *CNS Spectr*. 2007 Jan;12(1):62-8.
- "Coenzyme Q10 administration and its potential for treatment of neurodegenerative diseases.", Beal MF., *1: Biofactors*. 1999;9(2-4):261-6.
- "Tolerance of high-dose (3,000 mg/day) coenzyme Q10 in ALS" Ferrante KL; *Neurology* 2005 Dec 13;65(11):1834-6
- "A two-stage design for a phase II clinical trial of coenzyme Q10 in ALS" Levy G, *Neurology*. 2006 Mar 14;66(5):660-3
- "Tolerance of high-dose (3,000 mg/day) coenzyme Q10 in ALS" Ferrante KL; *Neurology* 2005 Dec 13;65(11):1834-6
- "Neuroprotective agents for clinical trials in ALS: a systematic assessment" Traynor BJ. *Neurology*. 2006 Jul 11;67(1):20-7

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

### Cessione di galenici tra Farmacie Ospedaliere

<http://www.sistemapiemonte.it/cms/pa/sanita/servizi/251-registro-pazienti-affetti-da-malattie-rare/2726-documentazione>

**Tariffazione e  
valorizzazione in File F**



Torino, lì \_\_\_\_\_

All.r.a. \_\_\_\_\_  
S.C. Farmacia Interna

**CESSIONE DI GALENICI TRA FARMACIE OSPEDALIERE**

● FARMACISTA RICHIEDENTE: \_\_\_\_\_  
Azienda: \_\_\_\_\_  
Telefono: \_\_\_\_\_ fax: \_\_\_\_\_

● FARMACISTA PREPARATORE: \_\_\_\_\_  
Azienda: \_\_\_\_\_  
Telefono: \_\_\_\_\_ fax: \_\_\_\_\_

CODICE REGIONALE GALENICO	NOME MEDICINALE GALENICO	DOSAGGIO	CONFEZIONAMENTO	QUANTITÀ (n° CONFEZIONI)

FARMACISTA (che richiede) \_\_\_\_\_

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

# Quando un galenico non è codificato.....

<u><b>RICHIESTA TERAPIA CON GALENICO NON CODIFICATO</b></u> (Scheda Gal NC)	Studio	Tipo di studio (RCT, fase II, caso clinico)	Numero di pazienti	Caratteristiche paziente	Intervento	Intervento di confronto (solo per RCT)	Lunghezza Follow-up	End point clinici Effetti collaterali	Risultati	Voci bibliografiche
Descrizione/composizione del galenico										
Medico proponente e struttura	Data: ...../...../.....  Firma: .....									
Codice e Descrizione della patologia rara del paziente che dovrebbe ricevere il trattamento										
Codice patologia rara:										
Descrizione:										
Descrizione delle eventuali alternative terapeutiche										
Esistono Linee Guida che ne raccomandino l'uso nel caso specifico?										
<u>NO</u> <u>SI</u>										
Se SI: <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ citazione bibliografica</li> <li>▪ allegare documento</li> <li>▪ Breve sintesi (contenuto della raccomandazione, studi o parere di esperti che la supporta)</li> </ul>										
Esistono studi clinici riguardo l'uso del farmaco nel caso specifico?										
Randomized Clinical Trial: <u>NO</u> <u>SI</u> (quanti?, citazioni bibliografiche, utilizzare la tabella allegata per riassumere i risultati):										
Studi fase II: <u>NO</u> <u>SI</u> (quanti?, citazioni bibliografiche, utilizzare la tabella allegata per riassumere i risultati):										
Casi clinici: <u>NO</u> <u>SI</u> (quanti?, citazioni bibliografiche, utilizzare la tabella allegata per riassumere i risultati):										

## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

# Monitoraggio prescrizioni per malattie rare - ASL TO 5

**Anno 2012**

**Gruppo di lavoro**

Farmacista Ospedaliero  
Neurologo  
Chirurgo addominale  
Ematologo      Pneumologo

210 Pazienti

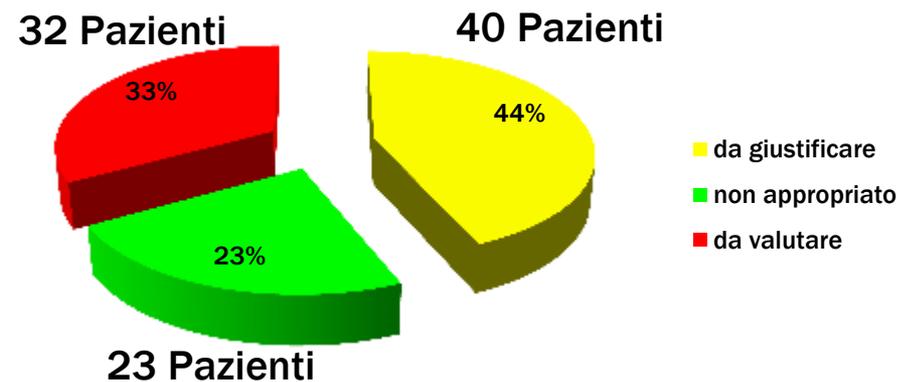
1880 Prescrizioni



95 Pazienti → 36%

220 Prescrizioni ritenute non appropriate → 12%

**prescrizioni ritenute non appropriate**

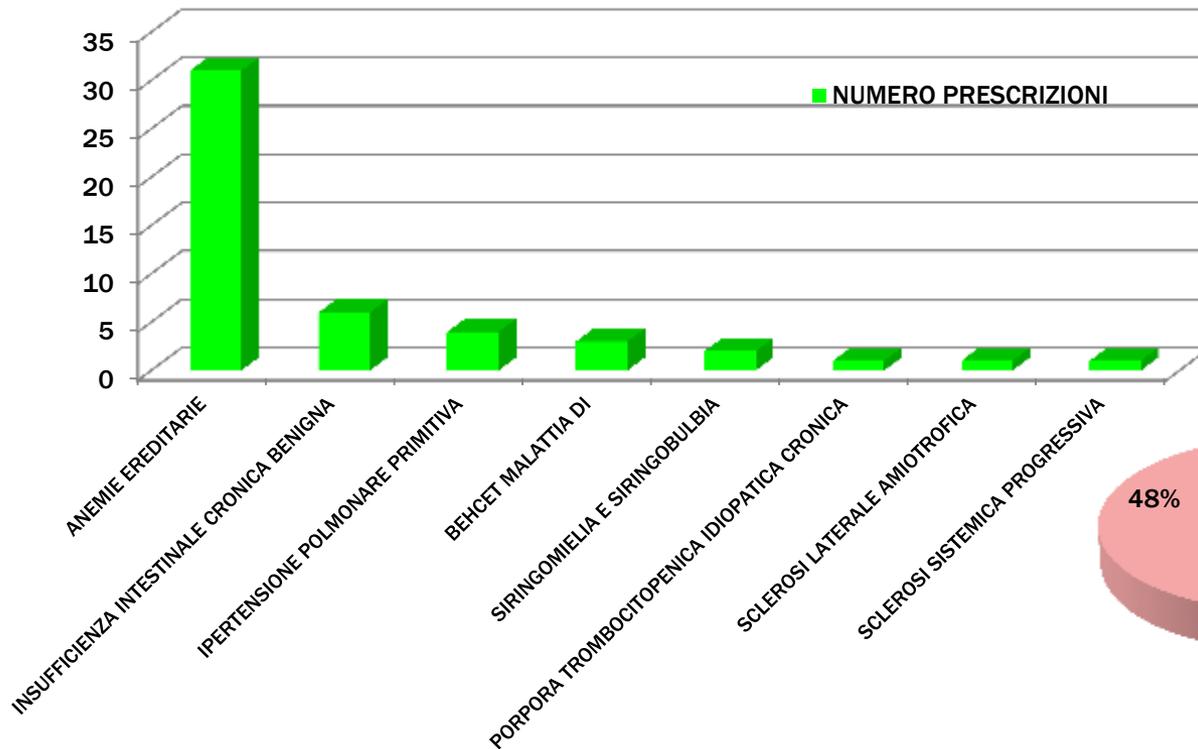


## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

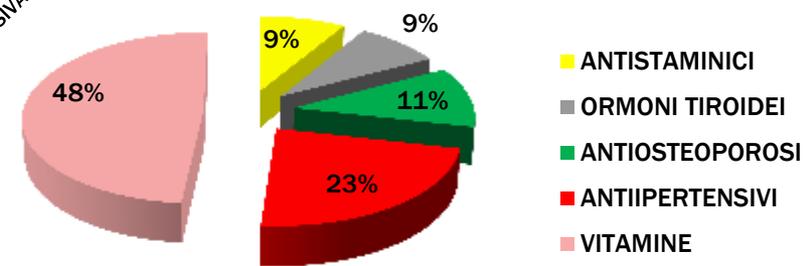
# Monitoraggio prescrizioni per malattie rare -ASL TO 5

### Anno 2012

#### MALATTIE RARE CON PRESCRIZIONI INAPPROPRIATE



#### Farmaci inappropriati



## Farmaci per le malattie rare nella regione Piemonte

### Riferimenti utili

**CMID**

**Telefono 011/2402053 - 2127**

**E-mail [info@malattierarepiemonte.it](mailto:info@malattierarepiemonte.it)**

**Farmacia**

**Telefono 011/6484814**

**E-mail [peila.emanuela@aslto5.piemonte.it](mailto:peila.emanuela@aslto5.piemonte.it)**

---

*Grazie!*

**[peila.emanuela@aslto5.piemonte.it](mailto:peila.emanuela@aslto5.piemonte.it)**

---