

A:

AZIENDA SANITARIA LOCALE - ASL DI
BERGAMO
VIA GALLICCIOLLI, 4
24121 (BG)
Email: protocollo@pec.asl.bergamo.it

AZIENDA SANITARIA LOCALE - ASL DI
BRESCIA
VIALE DUCA DEGLI ABRUZZI, 15
25124 (BS)
Email: servizioprotocollo@pec.aslbrescia.it

AZIENDA SANITARIA LOCALE - ASL VALLE
CAMONICA - SEBINO
VIA NISSOLINA, 2
25043 (BS)
Email:
protocollo@pec.aslvallecamonicensebino.it

AZIENDA SANITARIA LOCALE - ASL DI COMO
VIALE PESSINA, 6
(CO)
Email: protocollo.generale@pec.asl.como.it

AZIENDA SANITARIA LOCALE - ASL DI
CREMONA
VIALE PO, 12
26100 (CR)
Email: dirgen@pec.aslcremona.it

AZIENDA SANITARIA LOCALE - ASL DI LECCO
CORSO CARLO ALBERTO, 120
23900 (LC)
Email: direzione.generale@pec.asl.lecco.it

[...]

Oggetto : DGR n. 2989 del 23/12/2014- 4.2.2. FARMACI PER MALATTIE RARE.

La DGR n. X/2989 del 23 dicembre 2014, avente per oggetto *“Determinazioni in ordine alla gestione del Servizio Socio Sanitario Regionale per l'esercizio 2015 - (di concerto con gli Assessori Cantù e Melazzini)”*, ha dato le allegate disposizioni in merito ai Farmaci per malattie rare (Capitolo 4.2.2 – Allegato B *“Regole di Sistema 2015 ambito sanitario”*).

Si evidenzia che le ASL, le strutture sanitarie e i Presidi di Rete Malattie Rare (RMR) nel corso dell'anno 2015 dovranno attivarsi per rendere attuative le disposizioni allegate, prevedendo l'aggiornamento dei protocolli sottoscritti dalle ASL, dalle strutture sanitarie di competenza territoriale e dai presidi di Rete nel corso del 2014. I protocolli aggiornati dovranno essere inviati al Centro Regionale delle Malattie Rare e alla DG Salute, al fine di pubblicarli sul sito regionale.

Cordiali saluti.

Il Direttore Generale
Walter Bergamaschi



4.2. MISURE PER IL MIGLIORAMENTO DELL'EQUITA' E DELLE PRESTAZIONI A FAVORE DEI CITTADINI

4.2.2. FARMACI PER MALATTIE RARE

La Delibera della Giunta Regionale Lombarda n. 1185 del 2014 ha voluto evidenziare la necessità di definire il percorso del paziente al fine di facilitare l'accesso alle terapie appropriate, superare un percorso "ad ostacoli" ed uniformare il processo sul territorio regionale.

La D.G. Salute, d'intesa con gli operatori, ha infatti elaborato un documento di partenza, di cui alla nota regionale definendo i ruoli delle ASL e delle Aziende Ospedaliere, evidenziando le competenze dei Presidi di Rete Malattie Rare (RMR) e delle strutture presenti nel luogo di residenza dell'assistito.

Nel corso del 2014 tutte le 15 ASL, con le strutture sanitarie e i Presidi di Rete Malattie Rare (RMR) hanno adottato un protocollo sottoscritto dalle strutture sanitarie di competenza territoriale e dai suoi presidi di Rete ed inviato al Centro Regionale delle Malattie Rare e alla DG Sanità.

Poiché il confronto tra i diversi attori del sistema ha portato in evidenza alcuni disomogeneità di trattamento in specifici casi, si dispone quanto segue.

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).

