



**Regione  
Lombardia**

Regione Lombardia - Giunta  
DIREZIONE GENERALE WELFARE  
FARMACEUTICA E DISPOSITIVI MEDICI

Piazza Città di Lombardia n.1  
20124 Milano

Tel 02 6765.1

[www.regione.lombardia.it](http://www.regione.lombardia.it)

welfare@pec.regione.lombardia.it

Protocollo G1.2022.0017559 del 11/04/2022

AI DIRETTORI GENERALI ATS

AI DIRETTORI GENERALI ASST

AI DIRETTORI GENERALI IRCCS  
PUBBLICI

AI LEGALI RAPPRESENTANTI DI IRCCS  
PRIVATI, CASE DI CURA E OSPEDALI  
CLASSIFICATI

FROMCeO LOMBARDIA Federazione  
Regionale degli Ordini dei Medici Chirurghi  
e degli Odontoiatri della Lombardia  
Via Massenzio Masia 30  
22100 COMO (CO)  
Email: presidenza.co@pec.omceo.it

SEGRETARIO REGIONALE FIMMG  
Via Teodosio, 33  
20131 MILANO (Mi)  
Email: fimmglombardia@pec.it

SEGRETARIO REGIONALE SNAMI  
Via Beatrice D'Este, 10  
20122 MILANO (Mi)  
Email: lombardia@pec.snami.org

FEDERFARMA LOMBARDIA  
Viale Piceno, 18  
20129 MILANO (MILANO)  
Email: lombardia@pec.federfarma.it

ASSOFARM LOMBARDIA C/O  
CONSERVIZI MILANO  
Palazzo Q7 - Strada 4  
20129 ROZZANO (Milano)  
Email: segreteria@confservizilombardia.it

Referente per l'istruttoria della pratica: IDA FORTINO

Tel. 02/6765.8042

FARMACIE UNITE  
Email: farmacieunite@pec.farmacieunite.it

Federazione Ordini dei Farmacisti della  
Lombardia  
Viale Piceno, 18  
20129 MILANO (MI)  
Email: ordinefarmacistimilomb@pec.fofi.it

Segretario Regionale Lombardia FISMU E  
UMI  
Via Montello 38  
25128 BRESCIA (BS)  
Email: umi@pec.unionemedici.it

e, p.c.

Aria - Azienda Regionale per l'Innovazione e  
gli Acquisti SPA  
Via Taramelli, 26  
20154 Milano (MI)  
Email: protocollo@pec.ariaspa.it

Agenzia Italiana del Farmaco - AIFA  
Via del Tritone, 181  
00144 Roma (RM)  
Email: protocollo@pec.aifa.gov.it

SOGEI  
Via Mauro Carucci 99  
143 ROMA ()  
Email: protocollosogei@pec.sogei.it

UNIAMO - Federazione Italiana Malattie  
Email: uniamofimronlus@pec.uniarno.org

LORO SEDI

**Oggetto : Somministrazione domiciliare dei farmaci per terapia enzimatica sostitutiva – ERT – a regime per i malati rari lombardi**

Si richiama la determina AIFA n. 341/2020 avente per oggetto “Raccomandazioni a carattere eccezionale per la somministrazione domiciliare dei farmaci per terapia enzimatica sostitutiva – ERT”, atto con cui AIFA è intervenuta al fine di garantire la continuità dell'accesso alle cure da parte dei

**Referente per l'istruttoria della pratica: IDA FORTINO**

**Tel. 02/6765.8042**

pazienti che necessitano di terapia enzimatica sostitutiva e, al contempo, di assicurare il più elevato livello di sicurezza nella somministrazione della citata terapia.

Considerato che le disposizioni della succitata determina possono essere applicate anche dopo il periodo di emergenza COVID, poiché le malattie rare si presentano come malattie “eccezionali” e determinano sia nel paziente che nei care-giver situazioni di forte impatto organizzativo che non si sono risolte con la fine dell'emergenza COVID ma permangono, si richiamano di seguito, per la loro applicazione per il periodo post-emergenza e anche in caso di accordo con le ditte farmaceutiche di questi farmaci, le indicazioni di AIFA che sono da ritenersi vincolanti.

“Nel rispetto delle condizioni cautelative previste dalla scheda tecnica e a fronte dell'acquisizione del consenso informato del paziente o del suo tutore legale, i medicinali per terapia enzimatica sostitutiva – ERT («Aldurazyme» (laronidasi), «Myozyme» (a-glucosidasi acida umana ricombinante), «Naglazyme» (galsulfase), «Elapraxe (idursulfasi), «Cerezyme» (imiglucerasi), «Fabrazyme» (agalsidasi beta), «Vpriv» (velaglucerasi alfa), «Vimizim» (elosulfase alfa), «Kanuma)r (sebelipasi alfa), «Strensiq» (asfotase alfa), «Lamzedo» (velmanase alfa) e «Replagal» (agalsidasi alfa)), sono somministrati presso il domicilio del paziente alle seguenti condizioni:

- I pazienti possono essere trattati a domicilio solo dopo aver ricevuto la ERT in ospedale per un periodo di almeno 6-12 mesi senza avere mai manifestato reazioni avverse al farmaco (IAR);
- se il paziente ha una malattia respiratoria cronica importante (esempio: %FVC = 40% o meno), deve essere valutato su base individuale: solo se si dimostra che la malattia respiratoria è stabile e il paziente è in buone condizioni cliniche generali, la terapia domiciliare può essere autorizzata
- Il paziente deve avere facili accessi venosi o un port-a-cath impiantato e funzionante.
- Il team dell'infusione domiciliare deve incontrare il paziente e il medico in ospedale prima del trasferimento a domicilio e avere una cartella del paziente con la prescrizione individualizzata del trattamento da mettere in atto se presentasse IAR.
- Il medico di famiglia deve essere al corrente del fatto che il paziente riceve la ERT al domicilio
- Il paziente alla visita successiva al centro deve portare tutta la documentazione che riguarda le infusioni domiciliari.
- Il team domiciliare deve informare subito il medico specialista che ha In cura il paziente se vi sono problemi di accesso venoso o se il paziente ha presentato una IAR.
- Il team infusione domiciliare è costituito da un medico reperibile telefonicamente esperto della malattia e da uno o due infermieri addestrati che abbiano fatto un corso ad hoc e che conoscano la patologia, il farmaco, le possibili reazioni, e i trattamenti correlati.

**Referente per l'istruttoria della pratica:** IDA FORTINO

Tel. 02/6765.8042

– Il medico responsabile dell'infusione domiciliare deve essere sempre reperibile telefonicamente dal team infusionale.

Diventa importante anche informare i pazienti e i care-givers della possibilità di cui sopra, affinché possano valutarlo con il clinico.

La scrivente con i referenti del centro regionale malattie rare e con i referenti delle ATS e ASST inoltre verificherà a quali altre terapie sia possibile estendere tali modalità operative per rendere uniforme l'approccio alle malattie rare, con l'obiettivo di produrre un nuovo documento di indirizzo che semplifichi il percorso paziente e l'accesso alla cure.

Cordiali saluti

IL DIRIGENTE

IDA FORTINO

Copia analogica sottoscritta con firma a mezzo stampa predisposta secondo l'articolo 3 del D.lgs 39/1993 e l'articolo 3bis, comma 4bis del Codice dell'amministrazione digitale. Il documento originale è firmato digitalmente e conservato presso l'Ente.

**Referente per l'istruttoria della pratica: IDA FORTINO**

Tel. 02/6765.8042