



*Azienda Provinciale
per i Servizi Sanitari
Provincia Autonoma di Trento*

Malattie rare: percorsi assistenziali e vissuti

5 °giornata trentina delle malattie rare

L'accessibilità alle terapie del malato raro

Centro per i servizi sanitari
Trento 23.02.2019



In questa presentazione

**Cenni normativa nazionale
e provinciale**

**Protocolli
Sistema informatico
di prescrizione - PTP**

**Percorso di accesso
Prescrizione/erogazione**

**Quali trattamenti
per il malato raro**

**Le prestazioni
aggiuntive 21bis, 21,18**

I farmaci orfani



Normativa nazionale



Il DM 18 maggio 2001, n. 279
«Regolamento per le malattie rare»

prevede l'erogazione a titolo gratuito di **tutte le prestazioni appropriate ed efficaci** per il trattamento, monitoraggio della malattia rara e affida ai Centri di riferimento la definizione di appositi **“protocolli”** per la diagnosi e la terapia da realizzare in collaborazione con i Presidi della rete delle malattie rare

Normativa PAT



Accordo di «Area vasta» (Regione del Veneto, Provincia BZ) per individuazione di **percorsi assistenziali e terapeutici comuni**

Approvazione di “**protocolli**” definiti dai Tavoli tecnici – clinici e farmaceutici che includono **medicinali non concedibili** e trattamenti vari da assicurare come **LEA “aggiuntivi”**

Adozione sistema informatico prescrizione - erogazione e monitoraggio “Piano Terapeutico Personalizzato” - **PTP**

Protocolli

PTP

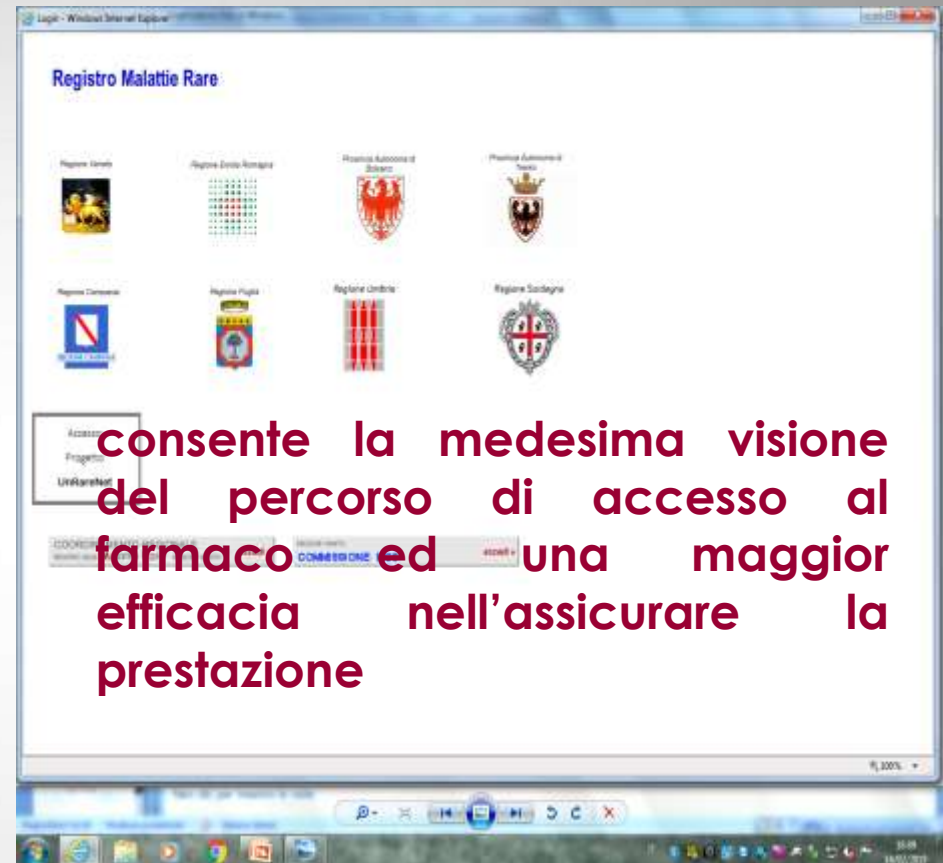
allegato I

Medicinali erogabili a carico del Servizio sanitario provinciale per le
"Malattie rare neurologiche e metaboliche ad interessamento neurologico"
Del. G. P. n. 1714 del 10.07.2009

FARMACO	MALATTIA RARA
AMANTADINA	Sindrome di Steele-Richardson-Olszewski
BACLOFENE 10 mg	Per il sintomo spasticità in: Adrenoleucodistrofia, Ceroido-lipofuscinosi, Distonia di torsione idiopatica, Gangliosidosi, Leucodistrofie, Sclerosi laterale amiotrofica, Sclerosi laterale primaria, Epilessia mioclonica progressiva, Mioclono essenziale ereditario
CLOBAZAM	Per le Epilessie farmaco-resistenti in: Ceroido-lipofuscinosi, Epilessia mioclonica progressiva, Gangliosidosi, Malattia di Alpers, Mioclono essenziale ereditario, Sindrome di West
VITAMINA E	Atassia da deficit di vit E (AVED)
PIRACETAM	Epilessia Mioclonica Progressiva
CoQ10 - ubiquinone	Acidosi lattiche primitive, Malattia di Leigh, Sindrome di Kearns-Sayre, MERFF, MELAS
LEVOCARNITINA	Acidosi lattiche primitive, Malattia di Leigh, Sindrome di Kearns-Sayre, MERFF, MELAS
3,4 DIAMINOPIRIDINA	Sindrome di Eaton-Lambert
L-DOPA	Ceroido-lipofuscinosi, Sindrome di Steele-Richardson-Olszewski
LEVOARGININA	MELAS
IDROCORTISONE	Corea di Huntington
OLANZAPINA QUETIAPINA ALOPERIDOLO	Distrofie muscolari
PREDNISONE * DEFLAZACORT *	Distrofie miotoniche
CARBAZEPINA FENITOINA MEXILETINA CHININA SOLFATO	Narcolessia
SODIO OXIBATO	Sindrome di Lennox-Gastaut
RUFINAMIDE	Terapia sintomatica dei crampi muscolari in tutte le malattie neurologiche del DM 279/2001. Esempi: SLA, sclerosi laterale primaria
CHININA SOLFATO	Terapia sintomatica della spasticità in tutte le malattie neurologiche del DM 279/2001. Esempi: SLA, sclerosi laterale primaria
TIZANIDINA	Terapia sintomatica della sciaiorrea in tutte le malattie neurologiche del DM 279/2001. Esempi: SLA, sclerosi laterale primaria
AMITRIPTILINA IMIPRAMINA SCOPOLAMINA ATROPINA LEVOSULPRIDE	Terapia sintomatica delle secrezioni bronchiali in tutte le malattie neurologiche del DM 279/2001. Esempi: SLA, sclerosi laterale primaria
N-ACETIL CISTEINA GUAIFENESTIL PROPANOLOLO METOPROLOLO	Terapia sintomatica del senso di soffocamento notturno in tutte le malattie neurologiche del DM 279/2001. Esempi: SLA, sclerosi laterale primaria
FLURAZEPAM PROMAZINA	

uniformità dei
trattamenti

(* per i soggetti in terapia con prednisone o deflazacort lo specialista può valutare di integrare la terapia con calcio, vit. D e gastroprotettori (questi ultimi saranno prescritti analogamente agli altri farmaci della tabella, senza opposizione nota AIFA e con apposizione esenzione + PTP)



Quali trattamenti per il malato raro



I malati rari **appartenenti ai gruppi di malattie per i quali è definito in area vasta ed approvato in PAT un “protocollo” di trattamento** (malattie neurologiche, metaboliche, ematologiche, dermatologiche oculistiche, cistite interstiziale)



Farmaci concedibili in regime Servizio sanitario nazionale (A, PHT, H, compresi farmaci “orfani”)



**Prestazione
21 bis**

Farmaci/Trattamenti non concedibili inclusi nei protocolli (classe C, off label, esteri, galenici + alimenti speciali, dispositivi medici, parafarmaci)
+ trattamenti ad personam previa autorizzazione di un Gruppo tecnico

Quali trattamenti per il malato raro



I malati rari **appartenenti ai gruppi di malattie ancora privi di “protocollo”** in PAT hanno accesso ai trattamenti previsti per la generalità degli assistiti

Farmaci concedibili in regime Servizio sanitario nazionale (A, PHT, H, compresi farmaci “orfani”)

Prestazione aggiuntiva 21

Fornitura di medicinali non concedibili dal SSN ad assistiti affetti da gravi patologie senza alternative terapeutiche previa autorizzazione di un Gruppo tecnico



Prestazione aggiuntiva 18

Fornitura di prodotti di medicazione e dispositivi medici per la cura e riabilitazione a domicilio di soggetti affetti da gravi patologie

Quali trattamenti per il malato raro

I farmaci orfani



Farmaci orfani = privi di sponsor (industria farmaceutica meno interesse nell'investire in ricerca e sviluppo; più corretto "destinati a malattie orfane")



Regolamento europeo (n. 141/2000) prevede incentivi (prezzo elevato, brevetto lungo, semplificazioni burocratiche per l'immissione in commercio)



Dal 2000 al 2015 (1160 molecole potenzialmente impiegabili per le malattie orfane) meno di 100 sono disponibili come farmaci



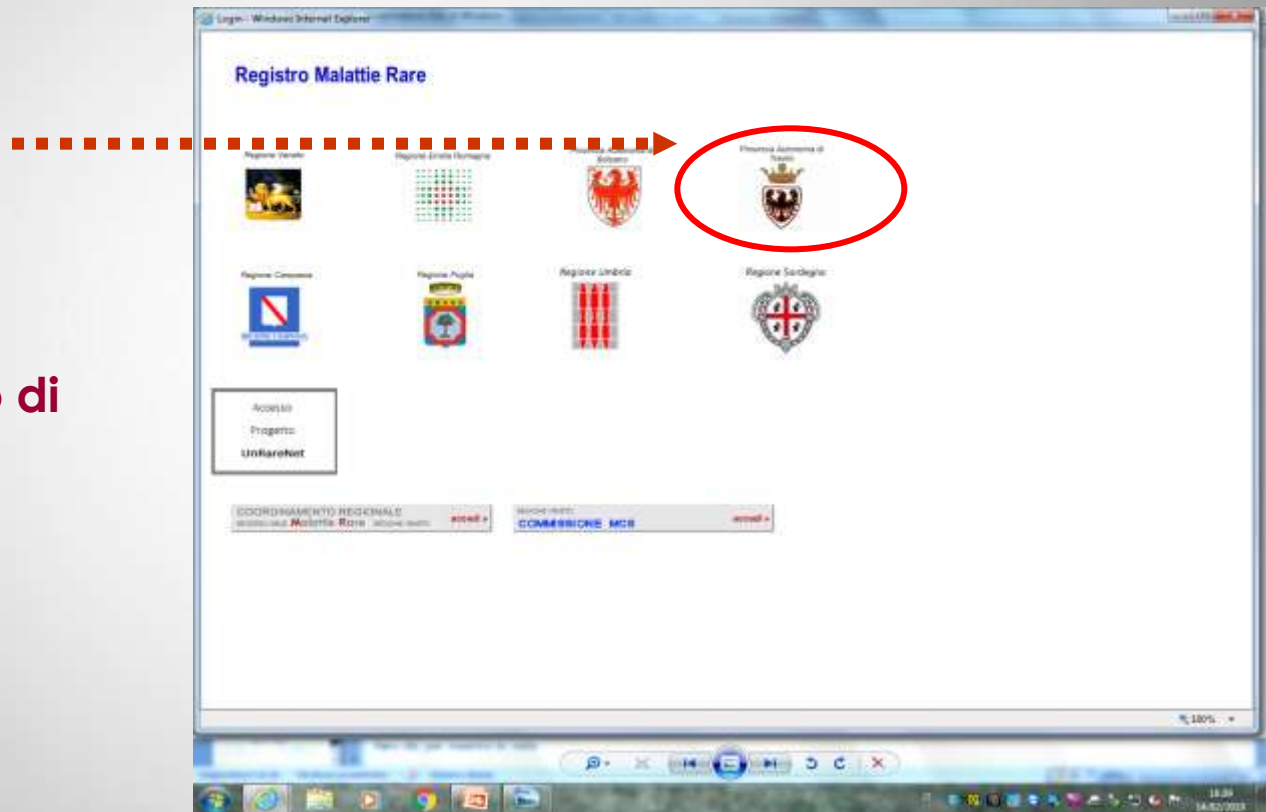
Ad oggi la PAT assicura i farmaci i farmaci orfani senza limitazioni di budget (es. nusinersen per la SMA € 150.000/paziente/anno)

Prescrizione informatizzata

Registro malattie rare



**Centri di riferimento di
area vasta**



Prescrizione informatizzata

Piano Terapeutico personalizzato- PTP



REGIONE Provincia Autonoma di Trento

Azienda Provinciale per i Servizi Sanitari di Trento

U.O Neurologia

Piano Terapeutico Personalizzato (PTP) n. _____

(valido dal 28/01/2019 al 28/01/2020)

del n. _____

C. _____

con esenzione per malattia rara RF0100 (ex DM 279/01)

Trattamento	Posologia	Note
CLONAZEPAM - RIVOTRIL*OS GTT 10ML 5 + 8 2,5MG/ML		Farmaco in fascia A erogabile gratuitamente
RILUZOLO - RILUTEK*56CPR RIV 50MG	1 cp x 2	Farmaco in fascia A del Prontuario della distribuzione diretta erogabile gratuitamente
NICETILE*30CPR 500MG	2 cp x 3	Trattamento/i con richiesta di autorizzazione all'erogazione in esenzione dalla partecipazione al costo da parte dell'Azienda di residenza.
Scopolamina cerotto	1x2	Trattamento extra Lea da fornire gratuitamente

Classe A

Classe A - PHT

**Classe C extra Protocollo
da autorizzare da Gruppo
Tecnico**

Classe C Protocollo

Prescrizione informatizzata

Autorizzazione extra protocollo

Registro Malattie Rare [malattierare.rve.overnetwork.it] - Windows Internet Explorer

Registro Malattie Rare

Malattie Rare

Richiesta trattamenti extra-LEA Utente connesso: edebastiani aut

Richiesta di trattamento/i extra-LEA essenziali ed insostituibili da autorizzare in regime di esenzione dal costo

Da parte di: Dr.ssa *
del Centro: U.O. Neurologia - Ospedale
S. Chiara
del UL:
PTP nr.:
valido dal: 28/01/2019 **al:** 28/01/2020

A favore di:
affetto da: SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA

Trattamento	Posologia	Off-Label	Non-Sost	Galen.
LEVOACETILCARNITINA CLORIDRATO - NICETILE*30CPR 500MG	2 cp x 3	☐	☐	☐

☐ già autorizzato

Tipologia del prodotto: Trattamento in fascia C

Specificità della condizione del paziente:
sclerosi laterale amiotrofica ad esordio spinale

Definizione della Richiesta:
concessione in esenzione dalla partecipazione al costo.

Bibliografia:
(Amyotroph Lateral Scler Frontotemporal Degener. 2013 Sep;14(5-6):397-405. Randomized double-blind placebo-controlled trial of acetyl-L-carnitine for ALS. Beghi E, Pupillo E, Bonito V, Buzzi P, Caponnetto C, Chiò A, Corbo M, Giannini F, Inghilleri M, Bella VL, Logroscino G, Lorusso L, Lunetta C, Mazzini L, Messina P, Mora G,

Esci

100%

18.12
14/02/2019

Informativa ai prescrittori

Farmaci e trattamenti extra protocollo



Provincia Autonoma di Trento
Azienda Provinciale per i Servizi Sanitari
Gruppo Tecnico di Valutazione Farmaci
(D.G. n.542 del 24.4.1997 e succ.mod.)

Data 18/02/2019

Oggetto: richiesta di autorizzazione del 28/01/2019 all'erogazione di trattamenti per malattie rare in esenzione dalla partecipazione al costo in riferimento al Piano Terapeutico Personalizzato (PTP) N. _____ rilasciato da Dr.ssa _____ del U.O Neurologia - Ospedale S.Chiera - TRENTO

In relazione a quanto in oggetto, si comunica che il Gruppo Tecnico di Valutazione Farmaci ha esaminato la richiesta relativa all'assistito _____ e ha valutato quanto segue:

- di AUTORIZZARE l'erogazione gratuita del trattamento NICETILE*30CPR 500MG per la durata del Piano Terapeutico in oggetto.
Nota: _____

Rilasciato il _____

Timbro dell'unità operativa _____

Firma
G. I.
De



Azienda Provinciale per i Servizi Sanitari
Provincia Autonoma di Trento

Area Sistemi di Governance

Servizio Farmaceutico

Fantasmaio referendo: Elisabetta De Bastiani

Via Degasper, 79 - 38123 Trento

tel. 0461 904102 - fax 0461 902913

servizi@asps.tn.it

Prov./ID. _____

Chiamata _____

Trento, _____

Al (ai familiari di) _____

Il p. c. _____

Al Distretto
Ufficio Prestazioni

Oggetto: malattie rare - autorizzazione trattamenti extra LEA (previsione 21bis)

Con la presente si trasmette l'autorizzazione all'erogazione gratuita:

☐ del medicinale _____

☐ del trattamento(integratore alimentare)(dispositivo medico)..... (parafarmaco)

che le sono stati prescritti dal Centro di riferimento extra provinciale su Piano Terapeutico Personalizzato (PTP) n.
valido fino al _____

Per la prescrizione dei medicinali a carico del Servizio Sanitario Provinciale l'autorizzazione allegata a questa nota (assieme al PTP), dovrà essere consegnata al suo medico curante; il medico dovrà riportare nell'apposito spazio della ricetta (ricetta cartacea) il codice esenzione malattia rara e nello spazio sottostante il codice fiscale il numero di riferimento del PTP.

Per gli altri trattamenti l'autorizzazione allegata a questa nota (assieme al PTP) dovrà essere consegnata al suo Distretto sanitario-Ufficio prestazioni per il rilascio delle autorizzazioni valide per la fornitura mensile da ritirare presso le farmacie aperte al pubblico.

Distinti saluti

per il Gruppo tecnico di valutazione
- Elisabetta De Bastiani -



Sede legale: via Degasper, 79 - 38123 Trento - P.IVA e C.F. 01429410226 www.asps.tn.it

Canali erogativi

Erogazione diretta



Farmaci SSN

Mario Rossi

CODICINE E NOME DELL'ASSISTITO (O INIZIALI OVE PRESCRITTO DALLA LEGGE)

INDIRIZZO (OVE PRESCRITTO DALLA LEGGE)

SERVIZIO SANITARIO NAZIONALE
REGIONE CALABRIA

N RF0100

Riluzolo 2 confezioni

MRIRSS68E42612Y

PRESCRIZIONE

TIMBRO E FIRMA DEL MEDICO

DATA SPEDIZIONE / TIMBRO STRUTTURA EROGANTE

NUMERO PROGRESSIVO

IMPORTI

TICKET

BALZO DA CHIAMARE ALTRO

Farmaci SSP “protocollo”

Mario Rossi

COGNOME E NOME DELL'ASSISTITO (O INIZIALI OVE PRESCRITTO DALLA LEGGE)

INDIRIZZO (OVE PRESCRITTO DALLA LEGGE)

SERVIZIO SANITARIO NAZIONALE
REGIONE CALABRIA

NON ESENTE

RF0100

RICETTO

(Vedi avvertenze sul retro)

FIRMA AUTOCERTIFICANTE

BISLA PROVINCIA

CODICE ASL

MRIRSS68E42612Y

PTP 85427

CODICE

(Scartare se non utilizzato)

SUGGERIMENTO

RICOVERO

ALTRO

PRIORITÀ DELLA PRESTAZIONE

Transcoop cerotti 2 confezioni

PRESCRIZIONE

NUMERO CONFEZIONI / PRESTAZIONI

TIPO DI RICETTA

DATA

CODICE

NUMERO

CODICE

NUMERO

CODICE

NUMERO

CODICE

NUMERO

CODICE

NUMERO

CODICE

NUMERO

CODICE

NUMERO

CODICE

NUMERO

CODICE

NUMERO

CODICE

NUMERO

CODICE

NUMERO

CODICE

NUMERO

TIPO DI PRESTAZIONE E CODICE DI CATEGORIA (SECONDO IL CODICE DI CATEGORIA)
TIMBRO E FIRMA DEL MEDICO

DATA SPEDIZIONE / TIMBRO STRUTTURA EROGANTE

NUMERO PROGRESSIVO

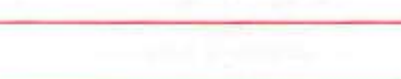
IMPORTI

TICKET

SALVO DA CHIAMARE

ALTRO

Farmaci SSP autorizzati GT

Mario Rossi		 A 1 2 3 4 5 6		 B 1 2 3 4 5 6 7 8 9 0 1		 STAMPA PC
COGNOME E NOME DELL'ASSISTITO (O INIZIALI OVE PRESCRITTO DALLA LEGGE)						
INDIRIZZO (OVE PRESCRITTO DALLA LEGGE)						
 SERVIZIO SANITARIO NAZIONALE REGIONE CALABRIA		← MRIRSS68E42612Y				
☒ N NON ESENTE	RF0100	☐ R RICEDITO	(Vedi avvertenze sul verso) FIRMA AUTOCERTIFICANTE _____		SIGLA PROVINCIA _____ CODICE ASL _____	PTP 85427
PRESCRIZIONE Nicetile cp 2 confezioni		(Se non ne vengono utilizzati) NOTA CUP: [] [] NOTA CUP: [] []			SUGG. ☒ H ☐ ALTRO ☐ U ☒ B ☐ D ☐ P PRIORITA' DELLA PRESTAZIONE	
NUMERO CONFEZIONI / PRESTAZIONI: [][]		TIPO DI RICETTA: [][]		DATA: [][][][][][]		
CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		
CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		
CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		
CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		CODICE: [][][][] NUMERO: [][]		
TIMBRE E FIRMA DEL MEDICO						
DATA SPEDIZIONE / TIMBRE STRUTTURA EROGANTE						
NUMERO PROGRESSIVO						
IMPORTI TICKET						
SALDO OR. CHIAM. ALTRO						

Accessibilità alle terapie in PAT

punti di forza e criticità

Malattie rare senza
protocollo

Sistema di
prescrizione
“rigido”

Percorsi complessi

Erogazione
trattamenti
diffusa sul territorio

Case management
(rete)





Grazie attenzione