



**Regione
Lombardia**

ASL Milano 2

VIA 8 GIUGNO N. 69 - 20077 MELEGNANO (MI)
P.I. 12319440157

Deliberazione

Libro delle Deliberazioni
del Direttore Generale

Numero

378



Data

Il Direttore Amministrativo
Dott.ssa Ida Maria Ada Ramponi

28-10-15

Oggetto: Recepimento "Protocollo di intesa tra ASL Milano 2, Presidi di Rete Malattie Rare e Strutture di Ricovero e Cura Pubbliche e private accreditate per l'attuazione del percorso condiviso di presa in carico per le malattie rare ai sensi della DGR n. IX/1185/2013" e della DGR n. X/2989 del 23/12/2014

Il Responsabile del procedimento: Dr.ssa Isabella Ruggeri

Il Funzionario Istruttore: Dr.ssa Isabella Ruggeri

IL DIRETTORE GENERALE

Visto il D. Lgs. n.502/92 e successive modificazioni ed integrazioni;

Vista la Legge Regionale n. 33 del 30.12.2009;

Visto il Decreto del Presidente della Giunta Regionale della Lombardia n. 70635 del 22.12.1997;

Vista la Delibera del Presidente della Giunta Regionale della Lombardia n. IX/4015 del 06.08.2012, con la quale è stato conferito al dott. Antonio Giovanni Mobilia l'incarico di Direttore Generale dell'ASL Milano 2;

Premesso che il Responsabile del procedimento riferisce quanto segue

- La DGR n. X/1185 del 20 dicembre 2013, punto 3.3.5 "Malattie Rare: Percorso condiviso ASL/AO di presa in carico" ed il successivo documento elaborato dalla Direzione Generale Salute, d'intesa con gli operatori, definiva i ruoli delle ASL e delle Aziende Ospedaliere, in ordine alle competenze dei Presidi di Rete Malattie Rare e delle Strutture presenti nel luogo di residenza dell'assistito affetto da malattia rara;
- La nota regionale del 28.01.2014 prot. N. H1.2014.0003501 impartiva indicazioni affinché ASL, Strutture Sanitarie e Presidi di Rete Malattie Rare si attivassero, nel corso del 2014, per rendere attuativa la procedura regionale di cui sopra prevedendo l'adozione di un protocollo di intesa da inviare al Centro di Coordinamento Regionale delle Rete Regionale delle Malattie Rare e alla DG Salute per la relativa pubblicazione sul sito web regionale;
- Sulla base delle linee guida regionali in materia, nell'anno 2014 era stato condiviso un Protocollo per l'attuazione, a livello locale, del percorso di presa in carico per le malattie rare ai sensi della DGR n. IX/1185/2013, con le Direzioni Sanitarie delle strutture ospedaliere afferenti al territorio dell'ASL Milano 2 (Delibera 431 del 11/12/2014);
- La DGR n. X/2989 del 23/12/2014, ad oggetto "Percorso di valutazione di un trattamento con farmaco off label per pazienti affetti da Malattia Rara", in attuazione alle Regole di Sistema 2015 di regione Lombardia, evidenzia che le ASL si debbano attivare per rendere attuativa la procedura di cui all'oggetto prevedendo l'adozione di un protocollo di intesa da inviare al Centro di Coordinamento Regionale delle Rete Regionale delle Malattie Rare e alla DG Salute per la relativa pubblicazione sul sito web regionale;



ASL Milano 2

378 28-10-15

- Sulla base delle linee guida regionali in materia, è stato condiviso un nuovo Protocollo per l'attuazione, a livello locale, del percorso di presa in carico per le malattie rare ai sensi della DGR n. IX/1185/2013 e della DGR n. X/2989 del 23/12/2014, con le Direzioni Sanitarie delle strutture ospedaliere afferenti al territorio dell'ASL Milano 2, allegato al presente atto quale parte integrante e sostanziale (Allegato composto da 12 pagine);

Tutto ciò premesso,

Ritenuto di far proprie le proposte del responsabile del procedimento in relazione a quanto sopra riferito

Acquisito, ai sensi dell'art. 3 del D.lgs. n. 229/99 il parere favorevole espresso per quanto di competenza dal Direttore Amministrativo, dal Direttore Sanitario e dal Direttore Sociale;

DELIBERA

1. di recepire il Protocollo per l'attuazione, a livello locale, del percorso condiviso di presa in carico per le malattie rare ai sensi della DGR n. IX/1185/2013 e della DGR n. X/2989 del 23/12/2014, allegato al presente atto quale parte integrante e sostanziale (All.1, composto da 11 pagine);
2. di dare mandato al responsabile del procedimento di inviare copia del presente provvedimento al Centro di Coordinamento Regionale delle Rete Regionale delle Malattie Rare e alla Direzione Generale Salute per la relativa pubblicazione sul sito regionale, così come previsto dalla nota regionale del 05.10.2015 prot. N. H1.2015.0028089;
3. di trasmettere il presente provvedimento al Collegio Sindacale dell'ASL;
4. di dare mandato al Responsabile del Procedimento per tutti i necessari successivi adempimenti di attuazione del presente provvedimento, ai sensi dell'art. 6 della Legge 241/1990;
5. di dare atto che il presente provvedimento è immediatamente esecutivo ai sensi del combinato disposto dei commi 6 e 9 dell'art. 18 della Legge Regionale 33/2009 e verrà pubblicata all'albo dell'Azienda.

IL DIRETTORE AMMINISTRATIVO
(Ida Maria Ada Ramponi)

d'ordine per
IL DIRETTORE SANITARIO
(Aldo Bellini)
Il Direttore del Dipartimento Cure Primarie
Dot. Cassavia Galino

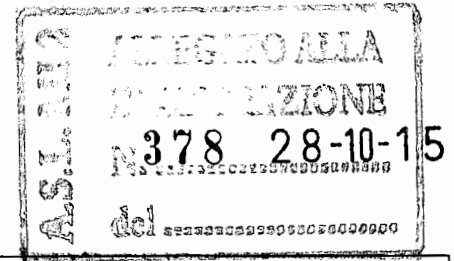
IL DIRETTORE SOCIALE
(Salvatore Tagliata)

IL DIRETTORE GENERALE
(Antonio G. Mobilia)



Regione
Lombardia

ASL Milano 2



PROTOCOLLO D'INTESA TRA ASL MILANO 2, I PRESIDI DI RETE MALATTIE RARE E LE STRUTTURE DI RICOVERO E CURA PUBBLICHE E PRIVATE ACCREDITATE DEL TERRITORIO PER L'ATTUAZIONE DEL PERCORSO CONDIVISO DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIE RARE ai sensi della DGR n.IX/1185/2013 e della DGR n. X/2989 del 23/12/2014

Ottobre 2015

Al fine di ottemperare alle disposizioni di Regione Lombardia stabilite con DGR n. IX/1185/2013 al punto 3.3.5, ad oggetto: "Malattie Rare: percorso condiviso ASL/AO di presa in carico" e con DGR n. X/2989 del 23/12/2014, ad oggetto "Percorso di valutazione di un trattamento con farmaco off label per pazienti affetti da Malattia Rara" e di promuovere una modalità condivisa per la quale il paziente trovi univoco comportamento sul territorio, l'ASL di Milano 2 e le Strutture sanitarie del competente territorio

CONCORDANO IL PRESENTE PERCORSO

elaborato sulla base delle indicazioni impartite dalla D.G. Salute, che ha definito i ruoli delle ASL, dei Presidi di Rete Malattie Rare e delle Strutture presenti nel luogo di residenza dell'assistito affetto da malattia rara.

1. PREMESSA

La Delibera della Giunta Regionale Lombarda n° VII/7328 del 2001 ha stabilito quanto segue.

- *I pazienti affetti dalle malattie rare esenti incluse nell'apposito elenco ministeriale hanno diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo per i farmaci necessari alla cura della malattia.*
- *In particolare, possono essere forniti gratuitamente tutti i farmaci registrati sul territorio nazionale (classi: A, H, C), i farmaci inseriti negli elenchi speciali predisposti dall'AIFA (legge 648/96 e relativi allegati) e i farmaci registrati all'estero (Decreto 11 febbraio 1997, "Modalità di importazione di specialità medicinali registrate all'estero").*
- *La terapia farmacologica deve essere prescritta dallo specialista che opera nel Presidio della Rete Malattie Rare identificato per la specifica malattia, per mezzo della Scheda per la Prescrizione dei Farmaci. Tale scheda, conosciuta anche come Piano Terapeutico, ha validità massima di un anno ed è rinnovabile dal medico specialista del Presidio. Ai fini dell'erogazione dei farmaci in regime di esenzione copie di detta scheda devono essere fatte pervenire al medico curante (Medico di Medicina Generale o Pediatra di Libera Scelta) e alla ASL di residenza dell'assistito.*
- *Sia a livello nazionale che regionale i farmaci orfani non sono ad oggi inclusi in un "fondo specifico" ma partecipano alla spesa farmaceutica e alla definizione del tetto nazionale e regionale; la spesa per tali farmaci dovrebbe essere intesa come una "dote" che segue il paziente e non una spesa attribuibile solo alla singola struttura.*
- *I fondi per i farmaci prescritti per le malattie rare non sono extrabudget, ma hanno un "tetto di sistema" a livello regionale in quanto ricompresi nel finanziamento sanitario nazionale.*



2. OBIETTIVO

Il presente documento ha l'obiettivo di definire il percorso del paziente affetto da Malattia Rara al fine di garantirne l'accesso facilitato alle terapie appropriate, secondo modalità generali uniformemente indicate a livello regionale.

Il documento definisce in tal senso i ruoli dell'ASL e delle strutture presenti nel luogo di residenza dell'assistito, evidenziando le competenze dei Presidi di Rete Malattie Rare (RMR) al fine di implementare un modello operativo in grado di assicurare la continuità terapeutica e l'eventuale trasferimento e presa in carico del paziente presso la struttura ospedaliera territoriale più vicina al domicilio.

3. RUOLO DEL PRESIDIO DI RETE MALATTIE RARE

Secondo quanto indicato a livello regionale il Presidio di Rete Malattie Rare (RMR):

- Dopo l'accertamento diagnostico, provvede a dispensare direttamente la terapia prescritta, così da avviare tempestivamente il trattamento e valutarne l'efficacia e la tollerabilità.
- Garantisce l'erogazione di terapie per le malattie rare individuate.
- Redige la certificazione ai fini dell'esenzione per malattia rara. Redige il Piano Terapeutico, ne trasmette copia all'ASL di residenza dell'assistito e consegna allo stesso ulteriore copia per il MMG/PLS. Inserisce i dati relativi al paziente ed alla terapia nell'apposito Registro on line.
- Trasmette puntuale ed adeguata informazione circa la diagnosi e i trattamenti prescritti al MMG o PLS, al fine di garantire l'integrazione delle informazioni sul paziente affetto da Malattia Rara.
- Garantisce la fornitura diretta nel caso di: terapie in fascia H, farmaci registrati all'estero che si possono somministrare a domicilio (orali e sottocutanee), farmaci caratterizzati da particolari difficoltà di reperimento e/o di gestione, farmaci inseriti nei Registri Farmaci sottoposti a Monitoraggio predisposti da AIFA. Per ridurre gli accessi del paziente si deroga dai 60 giorni previsti per la rendicontazione in File F, secondo quanto disposto dalla DGR n° X / 1185 del 20/12/2013, consentendo anche la copertura sino a 90 giorni, al fine di far coincidere la visita di controllo con la fornitura/erogazione della terapia.
- Garantisce la fornitura di eventuali farmaci inseriti nella Legge 648/96 (Tipologia 3 del File F) che, anche se classificati in fascia A, sono unicamente di competenza del Presidio di RMR. Garantisce la fornitura di eventuali farmaci "off label" ed esteri secondo quanto previsto dal successivo paragrafo 4.
- Per garantire la continuità di cura, qualora il paziente esprima la volontà di approvvigionarsi dei farmaci presso un presidio più vicino alla propria residenza, prende contatti con i clinici della struttura ospedaliera territoriale identificata, subordinatamente al parere favorevole dello specialista di riferimento.



Regione
Lombardia

ASL Milano 2

4. FARMACI OFF LABEL E FARMACI ESTERI

Nel caso di farmaci off-label (per quanto previsto dai PDTA o nell'ambito di un utilizzo off-label individuale), la prescrizione deve rispettare quanto disposto dalla legge 94/98 "Conversione in legge, con modificazioni, del decreto-legge 17 febbraio 1998, n. 23, recante disposizioni urgenti in materia di sperimentazioni cliniche in campo oncologico e altre misure in materia sanitaria", G.U. n. 86 del 14 aprile 1998. Al fine di garantire l'adeguata presa in carico di soggetti affetti da malattie rare con terapie farmacologiche, si adottano, a livello locale, le indicazioni del Centro di Coordinamento Rete Regionale Malattie Rare – IRCCS Istituto di Ricerche Farmacologiche "Mario Negri", condivise dal livello regionale, di cui si riporta un estratto.

“In casi particolari il medico può, sotto la sua diretta responsabilità e previa informazione del paziente e acquisizione del consenso dello stesso, impiegare un medicinale per un’indicazione (o una via di somministrazione o una modalità di somministrazione o di utilizzazione) diversa da quella autorizzata, ovvero riconosciuta nelle Liste redatte da AIFA (648 e “uso consolidato”), qualora il medico stesso ritenga, in base a dati documentabili, che il paziente non possa essere utilmente trattato con medicinali già approvati e purché tale impiego sia noto e conforme a lavori apparsi su pubblicazioni scientifiche accreditate in campo internazionale. L’art. 2, comma 348, della legge 24 dicembre 2007, n. 244 (Finanziaria 2008), 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 conclude che un farmaco possa essere prescritto off-label a carico del SSN quando siano soddisfatte tutte le seguenti condizioni:

***il paziente non può essere trattato con medicinali già approvati
assunzione di responsabilità da parte del medico prescrittore
acquisizione del consenso informato
disponibilità almeno di dati favorevoli di sperimentazioni cliniche di fase II***

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”.

In accordo alla DGR n. X/2989 del 23/12/2014, ad oggetto “Percorso di valutazione di un trattamento con farmaco off label per pazienti affetti da Malattia Rara”, si riportano in allegato le modalità operative dettagliate.

I farmaci esteri possono essere forniti solo per le indicazioni registrate nei paesi di provenienza (ai sensi del D.M. 31 gennaio 2006 “Modificazioni al decreto 11 febbraio 1997, Modalità di importazione di specialità medicinali registrate all’estero”).



Regione
Lombardia

ASL Milano 2

5. RUOLO DELL'OSPEDALE TERRITORIALE

La struttura territoriale, individuata dal Presidio di RMR regionale ed in collegamento funzionale con esso:

- secondo quanto concordato con il Presidio di RMR, effettua gli interventi pianificati per garantire la continuità di cura;
- provvede alla eventuale infusione di terapie complesse che comportano assistenza ospedaliera, qualora venga richiesto dal paziente l'accesso alla terapia nel luogo più vicino alla residenza. Tale possibilità si applica anche per pazienti presi in carico da Presidi di RMR extraregione, qualora si verificano le condizioni suddette. Si evitano così spostamenti che possono risultare economicamente onerosi e/o gravosi in termini di tempo necessario, con conseguente peggioramento della qualità della vita, in accordo con la normativa vigente (DGR. 20/01/09 n. VIII/8884, art.3 Burl.,1° suppl. straordinario al n.5 del 03/02/2009).

6. RUOLO DELL'ASL

- L'ASL ha competenza e predispone, anche per il tramite delle farmacie territoriali, l'erogazione dei farmaci in fascia A e C e dei galenici prescritti (ricetta rossa) e di tutto quanto non richiede assistenza specialistica.
- Per i pazienti lombardi, in cura presso Presidi di RMR extraregionali, l'ASL assicura l'erogazione delle terapie non disponibili presso le farmacie al pubblico e l'importazione dei farmaci esteri eventualmente prescritti, sia non registrati che carenti sul territorio nazionale, anche per il 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. L'ASL garantisce la continuità assistenziale tramite farmaci disponibili in commercio, a bassa criticità di utilizzo, evitando duplicazioni di visite e controlli ospedalieri che si traducono in un aumento ingiustificato dei costi complessivi per il SSR.

Va sempre attentamente valutata e condivisa la necessità di indirizzare il paziente seguito da un centro extraregionale ad un centro di RMR regionale, ospedale territoriale, IRCCS o Fondazione; la scelta deve essere fatta tenendo conto delle necessità cliniche e nel rispetto delle scelte del paziente.

Qualora sia necessaria una specifica assistenza ospedaliera per l'assistito lombardo seguito da Presidi di RMR fuori regione, l'ASL di competenza esercita un ruolo di coordinamento e di facilitazione all'accesso delle cure, coordina gli interventi, fornisce al clinico di competenza dell'ospedale locale o del Presidio di RMR regionale tutta la documentazione necessaria e gli indispensabili contatti con lo specialista del Centro di riferimento di provenienza.



Regione
Lombardia

ASL Milano 2

Riferimenti ASL Milano 2

L'U.O.C. Governo Area Farmaceutica della ASL MI2 esercita un ruolo di coordinamento e indirizzo del paziente e dei suoi familiari.

A tal fine ogni comunicazione in merito da parte del medico specialista del RMR dovrà essere inviata ai seguenti recapiti:

Dr.ssa I. Ruggeri: 02/98116521 (isabella.ruggeri@aslmi2.it)

Dr.ssa S. Banfo: 02/98116519 (simona.banfo@aslmi2.it)

Dr.ssa E. Grandi: 02/98116518 (elisabetta.grandi@aslmi2.it)

Dr.ssa C. Pasotti: 02/98116530 (cristina.pasotti@aslmi2.it)

Fax: 02/98116525 – 26

Mail: area.farmaceutica@aslmi2.it

Qualora lo specialista dei Presidi di RMR, su richiesta del paziente e così come previsto dalla DGR, debba contattare il collega dell'ospedale territoriale, potrà avvalersi del supporto del personale farmacista afferente alla U.O.C. GAF ASL MI2 al fine di facilitare il più possibile il percorso del paziente.

7. PAZIENTI AMMISSIBILI E MODALITÀ DI ACCESSO

Si rimanda alla DGR n°. 1185/2013 – 3.3.5 per le parti non esplicitamente dettagliate nel presente documento.

ENTI SOTTOSCRITTORI DEL PERCORSO CONDIVISO:

- **ASL Milano 2**
- **Strutture di Ricovero e Cura Pubbliche e Private Accreditate:**
- A.O. OSPEDALE DI CIRCOLO DI MELEGNANO
- I.R.C.C.S. POLICLINICO SAN DONATO
- I.R.C.C.S. ISTITUTO CLINICO HUMANITAS

(timbro e firma del Rappresentante Legale

della Struttura di Ricovero e Cura Pubblica o Privata Accreditata)

ASL Milano 2

PERCORSO DI VALUTAZIONE DI UN TRATTAMENTO CON FARMACO OFF LABEL PER PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIA RARA

Modalità operative (Versione del 8/7/2015)

L'obiettivo del presente documento è quello di dettagliare il percorso operativo di valutazione di una prescrizione off label di farmaco nel caso di paziente affetto da malattia rara, in attuazione alle Regole di Sistema 2015 di Regione Lombardia (DGR n. X/2989 del 23/12/2014).

Secondo tale documento, 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.

Trattandosi di percorso gestionale che prevede l'interfaccia dei Presidi per le Malattie Rare con tutte le realtà territoriali lombarde, vengono fornite indicazioni operative dettagliate, al fine di adottare un comportamento comune su tutto il territorio regionale. In quest'ottica i moduli e format proposti nel presente percorso sono da preferirsi. Tuttavia, qualora nei presidi regionali siano in vigore modulistiche simili con analogo contenuto, queste possono essere ritenute valide.

Prescrizione

Lo Specialista del Presidio per la malattia rara in questione avanza richiesta al Servizio di Farmacia Ospedaliera a cui afferisce utilizzando il modello allegato (allegato A).

La Farmacia Ospedaliera esegue le opportune verifiche sull'indicazione proposta, seguendo lo schema sottostante:

IL FARMACO	FONTE INFORMATIVA/ LEGISLAZIONE	ESITO
1. E' IN INDICAZIONE?	RCP (Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto)	
NO	SI \	PT File F Tip. 10
2. E' INSERITO NELLA LEGGE 648/96?	http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/normativa-di-riferimento-sperimentazione-clinica	
NO	SI \	PT File F Tip. 3



Regione
Lombardia

ASL Milano 2

3. E'INSERITO NELLE LISTE OFF LABEL CONSOLIDATE DELLA LEGGE 648/96?	http://www.agenziafarmaco.gov.it/content/normativa-di-riferimento-sperimentazione-clinica	
NO	SI \	PT File F Tip. 3
4. E' PREVISTO DAL PDTA DI REGIONE LOMBARDIA?	http://malattierare.marionegri.it/content/view/123	
NO	SI \	PT File F Tip. 10
5. SONO DISPONIBILI STUDI DI FASE II O SUPERIORI CON RISULTATI FAVOREVOLI?	Ricerca bibliografica (esempio): <ul style="list-style-type: none">Ricerca Medline http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/advanced	
NO	SI \	Format (all. B) PT File F Tip. 10
6. RICHIEDERE PARERE AL CENTRO DI COORDINAMENTO	Documentazione via e-mail a raredis@marionegri.it : <ol style="list-style-type: none">PTRelazione clinicaFormat di valutazione della richiesta (all. B)Eventuale letteratura reperita	
	Parere favorevole	
	SI \	PT File F Tip. 10

Legenda: PT: Piano Terapeutico; PDTA: Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale

Nei casi 5) e 6) il Farmacista compila il format di valutazione (allegato B), di verifica dei requisiti di legge e della documentazione a supporto della richiesta.

Nel caso 5), dopo aver verificato la sussistenza dei requisiti, il Farmacista invia la documentazione alla propria Direzione Sanitaria per presa d'atto. Informa il Centro di Coordinamento inviando successivamente tutta la documentazione anche allo stesso.

Nel caso 6) invia il format di valutazione al Centro di Coordinamento congiuntamente alla documentazione inviata dallo Specialista richiedente, e attende il parere del Centro.

Nel caso in cui il Centro di Coordinamento dia parere favorevole ad un utilizzo off label per una terapia in assenza di studi di fase II, lo stesso provvederà, quando appropriato, all'aggiornamento del PDTA relativo.



Regione
Lombardia

ASL Milano 2

Erogazione

L'erogazione della terapia off label per gli assistiti del Sistema Sanitario Regionale Lombardo (iscritti al NAR (anagrafe assistiti di Regione Lombardia) avviene ad opera del Centro prescrittore per il tramite della Farmacia Ospedaliera nella tipologia file F prevista.

Per i pazienti iscritti al NAR Lombardia e seguiti da Presidi di riferimento per malattie rare di altre regioni, si dovrà fare riferimento agli accordi interregionali, in corso di stesura.

Verifica delle prescrizioni

Nell'ambito delle attività di controllo del tracciato file F potranno essere verificati i documenti presenti presso le Farmacie Ospedaliere.

Follow up

Il medico prescrittore ha la responsabilità della presa in carico del paziente e del suo monitoraggio clinico: egli, pertanto, dovrà fornire ad intervalli regolari alla Farmacia Ospedaliera una relazione clinica dettagliata sugli esiti e sulla sicurezza del trattamento, con una periodicità che dipenderà dal farmaco e dalla patologia, ma che non potrà in ogni caso superare i 6 mesi dall'inizio del trattamento. I seguenti sono i dati di minima da produrre sul singolo paziente:

1. valutazione della terapia: nessuna risposta; risposta al momento non valutabile; risposta parziale; risposta completa;
2. Reazioni avverse osservate in corso di terapia: no; si (con descrizione);
3. Fine trattamento – esito: miglioramento; risposta assente o insufficiente; reazione avversa; decesso; altro (specificare).

Il Centro di Coordinamento produce periodicamente (almeno annualmente) un resoconto delle terapie off label per malattia rara, e pianifica, quando opportuno, specifici progetti di monitoraggio degli esiti e della sicurezza di tali trattamenti.



Regione
Lombardia

ASL Milano 2

RICHIESTA DI FORNITURA DI FARMACI PER INDICAZIONI NON REGistrate "Off Label" PER MALATTIA RARA (Codice esenzione _____)

Al Direttore del Servizio Farmacia

AO/IRCCS _____

Il sottoscritto _____ Qualifica _____

Unità operativa _____ CDC _____

e-mail _____ Telefono _____

Richiede per il paziente

Cognome e nome _____ Data di nascita __/__/____

Codice fiscale _____ ASL di Appartenenza _____

Patologia _____ Codice esenzione _____

L'acquisto del Principio attivo _____ Specialità _____

Dosaggio richiesto (giornaliero, per ciclo di trattamento, per singolo trattamento):

- Giornaliero _____
- Per ciclo di trattamento _____
- Per singolo trattamento _____

Durata del trattamento _____ Inizio terapia Proseguimento terapia

Per la seguente indicazione terapeutica _____

Da somministrare in regime di: ricovero ordinario day hospital ambulatorio

Costo del farmaco per trattamento (Euro): _____

Il richiedente ed il Responsabile di Unità Operativa dichiarano:

- che il trattamento con il medicinale prodotto industrialmente per un'indicazione o via di somministrazione o modalità di somministrazione o di utilizzo diversa da quella autorizzata, avviene sotto propria diretta responsabilità in quanto si ritiene, in base a dati documentabili, che il paziente non possa essere utilmente trattato con medicinali per i quali sia già approvata quella indicazione terapeutica o quella via o modalità di somministrazione;
- che tale impiego è __ / non è __ supportato da dati favorevoli di sperimentazioni cliniche non inferiori alla fase II (Legge 244/07- Legge finanziaria 2008) di cui si allega copia;



Regione
Lombardia

ASL Milano 2

- che verrà acquisito il consenso informato del paziente e che lo stesso sarà conservato in cartella clinica (secondo quanto previsto dalla Legge n.94 del 08.04.98);
- che non è stato possibile l'accesso al farmaco gratuitamente ai sensi del DM 08/05/2003 "uso compassionevole".

Il Responsabile di Unità Operativa è consapevole che tale richiesta non comporterà un automatico incremento del budget complessivo assegnato per l'anno in corso.

Il richiedente ed il Responsabile di Unità operativa si impegnano, inoltre, a fornire una relazione dettagliata sull'andamento clinico del caso al Servizio di Farmacia ad un mese dall'inizio del trattamento e ad intervalli regolari, a seconda del tipo di malattia e trattamento, con cadenza almeno semestrale.

Documentazione da allegare alla domanda:

- copia della documentazione scientifica
- relazione dettagliata sul paziente che comprende patologia, rationale d'uso possibili effetti indesiderati. Va esplicitata l'assenza di valida alternativa terapeutica e va riportato il beneficio atteso in termini clinicamente rilevanti.
- relazione su esito del trattamento di eventuali pazienti analoghi per i quali sia stato già autorizzato l'uso.

_____, li _____

Responsabile dell'Unità Operativa

(timbro e firma)

(nome in stampatello)

Il Medico Richiedente

(timbro e firma)

(nome in stampatello)



Regione
Lombardia

ASL Milano 2

VALUTAZIONE IN MERITO ALLA RICHIESTA DI UTILIZZO

OFF LABEL PER MALATTIA RARA

FARMACO/SPECIALITA'	
UO/ CENTRO	
INIZIALI DEL PAZIENTE	
DATA DI NASCITA	
ASL	
CODICE MALATTIA RARA	
INDICAZIONE	
MEDICO RICHIEDENTE	
DATA	
COSTI	

1. Si riscontra assenza di alternative terapeutiche?

<input checked="" type="checkbox"/>	SI	Specificare
<input type="checkbox"/>	NO	

2. Ci sono almeno dati favorevoli di sperimentazioni cliniche di fase II?

<input checked="" type="checkbox"/>	SI	Elencare ed allegare gli studi a supporto di tale uso off-label
<input type="checkbox"/>	NO	Richiedere il parere al Centro Regionale per le malattie rare elencando la eventuale letteratura reperita

3. Evidenze cliniche riscontrate dagli studi presentati

REFERENZA STUDIO CLINICO	NUMERO PAZIENTI	TRATTAMENTI/ OUTCOME PRIMARIO	RISULTATI
FASE			



Regione
Lombardia

ASL Milano 2

4. Beneficio atteso dal Prescrittore

5. Eventuali note/conclusioni

Il Farmacista Referente

Il Direttore di Farmacia

ALLEGATO B