

DATA	REDATTO	VERIFICATO	APPROVATO
01/2023	<p>Dott.ssa Francesca V. RIZZI Dirigente Responsabile U.O.S. Farmacovigilanza e Monitoraggio Spesa Farmaceutica</p> <p>Dott. Saverio NENNA Dirigente Medico Referente Aziendale Malattie Rare</p> <p>Dott.ssa Stefania DE ROSA Dirigente Farmacista U.O.S. Farmacovigilanza e Monitoraggio Spesa Farmaceutica</p> <p>Dott.ssa Annamaria Pia TERLIZZI Dirigente Farmacista U.O.S. Farmacovigilanza e Monitoraggio Spesa Farmaceutica</p> <p>Dott.ssa Donatella SANTORO Dirigente Farmacista Farmacia Centralizzata Trani</p> <p>Dott.ssa Maria Antonietta CATALDI Dirigente Farmacista Farmacia Centralizzata Trani</p> <p>Dott.ssa Sara SBLANO Dirigente Medico U.O.S.V.D. Gestione Rischio Clinico, Qualità e Bed management</p>	<p>Dott.ssa Domenica ANCONA Direttore Dipart. del Farmaco</p> <p>Dott.ssa Mara MASULLO Dirigente Responsabile U.O.S.V.D. Gestione Rischio Clinico, Qualità e Bed management</p>	<p>Dott. Alessandro SCELZI Direttore Sanitario Aziendale</p>

	MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT	
---	--	--

INDICE

1 SCOPO	3
2 CAMPO DI APPLICAZIONE E DESTINATARI.....	3
3 RIFERIMENTI NORMATIVI	4
4 DEFINIZIONI/ABBREVIAZIONI	7
5 DESCRIZIONE ATTIVITÀ	9
5.1 DIAGNOSI E REDAZIONE DEL PIANO TERAPEUTICO PERSONALIZZATO (PTP) E DELLE RELATIVE PRESCRIZIONI. 9; 5.1.1 BREVI CENNI SUL PTP	11
5.2 EROGAZIONE DELLE TERAPIE FARMACOLOGICHE E NON FARMACOLOGICHE RICOMPRESE NEI LEA.	14
5.3 EROGAZIONE DELLE TERAPIE FARMACOLOGICHE E NON FARMACOLOGICHE EXTRA LEA A SEGUITO DI VALUTAZIONE E AUTORIZZAZIONE DELLA COMMISSIONE AZIENDALE.	16
6 MATRICE DELLE RESPONSABILITÀ.....	20
7 INDICATORI E PARAMETRI DI CONTROLLO	22
8 SCHEMA RIEPILOGATIVO EROGAZIONE LEA ED EXTRA LEA	23
9 ELENCO ALLEGATI	26

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	---	--

1 SCOPO

Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo di patologie (circa 7.000-8.000) definite tali per la loro bassa diffusione nella popolazione (5 casi ogni 10.000 abitanti dell'Unione Europea, fonte ISS). Le conoscenze scientifiche e mediche su queste malattie, ad oggi, sono ancora piuttosto limitate e questo rende molto complessa la gestione assistenziale dei pazienti che sono caratterizzati, di per sé, da una intrinseca fragilità ed alta disabilità¹. La Regione Puglia, nel corso degli anni, ha predisposto un assetto normativo volto ad istituire percorsi assistenziali semplificati che possano agevolare la diagnosi, la presa in carico nonché la successiva gestione del piano terapeutico dei pazienti affetti da Malattie Rare, favorendo lo sviluppo di una Rete Regionale Malattie Rare, imprescindibile collegamento funzionale a garanzia di un'assistenza interdisciplinare e multidisciplinare. La presente procedura, recependo le indicazioni (giusta deliberazione DG 139/2019) dell'Agenzia Regionale Strategica per la Salute ed il Sociale (AreSS) si propone di definire un percorso condiviso aziendale per la presa in carico del paziente affetto da malattia rara per facilitarne l'accesso alle terapie appropriate nel rispetto delle normative nazionali e regionali, assicurando un percorso in sicurezza ed in ossequio dei principi costituzionalmente tutelati.

2 CAMPO DI APPLICAZIONE E DESTINATARI

La procedura è rivolta agli operatori sanitari ed amministrativi afferenti ai DD.SS.SS., agli operatori sanitari delle UU.OO. dei PP.OO. della ASL BT nonché e al Dipartimento Farmaceutico ed attiene la presa in carico e la fornitura dei trattamenti, farmacologici e non, per i pazienti affetti da Malattie Rare residenti nel territorio della ASL BT (così come ricomprese nell'aggiornato elenco ministeriale ai sensi del DM n.279/2001 e dei nuovi Livelli Essenziali di Assistenza di cui al DPCM 2017) che hanno diritto all'esenzione della partecipazione del costo per le terapie necessarie alla cura, o ricoverati nelle UU.OO della ASL BT. La procedura è soggetta a revisioni periodiche nel rispetto delle normative di riferimento dovendosi, pertanto, prevedere attività di costante formazione per gli operatori coinvolti.

¹ da Orphanet, portale delle malattie rare e dei farmaci orfani

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

3 RIFERIMENTI NORMATIVI

Normativa nazionale

- **Decreto Ministeriale N° 279 del 18/05/2001** *Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie ai sensi dell'articolo 5, comma 1, lettera b) del decreto legislativo 29 aprile 1998, n. 124*
- **DPCM del 12/01/2017** (G.U. n° 65 del 18 marzo 2017 - Serie Generale, Supplemento n° 15) *Definizione e aggiornamento dei Livelli Essenziali di Assistenza, di cui all'articolo 1, comma 7, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n° 502- Allegato 7 al DPCM del 12/01/2017 (elenco delle malattie rare esentate dalla partecipazione al costo ed elenco dei codici di esenzione per malattia rara)*
- **Comunicazione Ministero della Salute del 26/11/2018** *Indicazioni per l'applicazione dell'Allegato 7 al DPCM 12 gennaio 2017 (malattie rare)*
- **Legge 10 novembre 2021, n. 175** (G.U. n° 283 del 27 novembre 2021) *“Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani”*

Normativa Regionale e aziendale

- **DGR n. 2238/2003**, e successive modifiche ed integrazioni, approvazione della *“Rete regionale dei presidi per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare”* e l’elenco dei centri interregionali di riferimento.
- **Legge regionale 12 agosto 2005**, art. 13. *Relativa a rimborso spese Malattie Rare per cure fuori Regione.*
- **DGR n 2485/2009** *“Istituzione del Centro di assistenza e ricerca sovraziendale - Costituzione Coordinamento regionale (CoReMaR)”* aggiornamenti con DGR 2048/2016 e DGR 253/2017.
- **Nota Reg. prot. N. 24/459/SP del 27.10.2011** *“Nomina dei referenti aziendali malattie rare. In ASL BAT nomina dr Saverio Nenna con disposiz. DG n. N. 8700/01/04 / DS N. 302/2011. Incarico confermato DG n. 204/26.03.2015 e DG n. 404/10.03.2016; Delibera ASL BT n. 1736 del 10.8.2017; Delibera ASL BT n. 929 del 15.7.2022.*

	MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT	
---	--	--

- **DGR n. 1591/2012** *“Ricognizione dei Centri interregionali di riferimento (CIR) e dei Presidi della Rete Nazionale (PRN) Malattie Rare. Aggiornamento dei componenti della Task Force Malattie Rare della ASL BT referenti (aziendale e territoriali).*
- **DGR 1695/2012** *“Avvio Sistema Informativo delle Malattie Rare della Regione Puglia (SIMaRRP)”.*
- **DGR n. 158/2015** *recepimento del Piano Programmatico 2013-2016 del Coordinamento Regionale Malattie Rare (Co.Re.Ma.R.) Puglia e approvazione delle “Linee Guida ed Istruzioni operative in materia di Assistenza ai pazienti affetti da Malattia Rara” come previsto dall’Accordo Conferenza Stato–Regioni del 16/10/2014 “Piano Nazionale per le Malattie Rare 2013-2016”. Contiene allegato 2: aggiornamento dei componenti della Task Force Malattie Rare della ASL BT referenti (aziendale e territoriali).*
- **Disposizione Prot. DG ASL BT n. 36649 del 21.06.2015** *“Attivazione Sportello Informativo e Ambulatorio Malattie Rare ASL BT presso Ospedale di Trani” confermato con disposizione Prot. DG N. 17366 del 18.03.2016.*
- **DGR n. 225/2017** *“Istituzione nelle Aziende Sanitarie Locali del Centro Territoriale per la facilitazione di accesso ai servizi delle persone affette da Malattie Rare e delle famiglie “Il Filo d’Arianna”*
- **DGR n. 226/2017** *“Approvazione del percorso di definizione dei Piani Diagnostico Terapeutici (PDT) e dei Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA) per le Malattie rare – Istituzione “Tavolo farmaco/PDTA per le Malattie Rare”.*
- **Delibera Direttore Generale ASL BT n.1736 del 10/8/2017,** *“Istituzione del Centro Territoriale Malattie Rare, in staff alla Direzione Strategica ASL BT”.*
- **D.G.R. n. 253/2017** *“Aggiornamento della Rete dei Presidi della Rete Nazionale (PRN) e Nodi della Rete Regionale Pugliese (RERP) accreditati per le malattie rare”. – Integrazione. D.G.R. n. 2048/2016 di aggiornamento dei componenti del Coordinamento Regionale per le Malattie Rare (CoReMaR) – Integrazione*
- **DGR n. 329/2018** *DGR n. 1491/2017 “DPCM 12 gennaio 2017 “Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza di cui all’art. 1, comma 7, del d.lgs. n. 502/92” - Aggiornamento*

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

della Rete dei Presidi della Rete Nazionale (PRN) e Nodi della Rete Regionale Pugliese (RERP) accreditati per le malattie rare”. Modifiche e Integrazioni.

- **Nota del Ministero della Salute AOO081 n.0540 del 01/02/2019** Oggetto: Nota del MS prot.n. 0040772-20/12/2018-DGPROGS-MDS-P recante “Quesito inerente la gestione delle richieste di prodotti prescritti nell’ambito dell’assistenza farmaceutica a pazienti affetti da Malattie Rare e/o Fibrosi Cistica (prot. n.100.18 del 10/07/18 Siveas)”- Chiarimenti
- **Nota ASL BT prot Clavius n.0022064 del 27/03/2019** Oggetto: Assistenza a pazienti affetti da Malattie Rare e/o Fibrosi Cistica. Proposta delibera gestione delle richieste di farmaci e prodotti Extra LEA nella ASL BT
- **DGR n. 139 del 13/05/2019** Adozione ISTRUZIONI OPERATIVE –Avvio 2° modulo Sistema Informativo Malattie Rare Regione Puglia – SIMaRRP
- **Nota ASL BT Prot. Clavius n.56779 del 22/08/2019** Oggetto: Rete Malattie Rare ASL BT. Registro PTP in linea su SIMaRRP. Verbale riunione e trasmissione elenco nominativi referenti (medici dss, amministrativi e farmacisti). Ultimo aggiornamento gennaio 2022
- **Legge Regionale 30.12.2021 n. 51** “Disposizioni per la formazione del bilancio di previsione 2022 e bilancio pluriennale 2022-2024 della Regione Puglia - legge di stabilità regionale 2022” (BURP Puglia n. 164 del 31.12.2021). Relativa a rimborso spese Malattie Rare per cure fuori Regione.
- **Deliberazione della Direttrice Generale ASL BT n. 468 del 14 marzo 2023**, “Istituzione nella ASL BT della Commissione Aziendale per la concessione di trattamenti farmacologici e presidi extra LEA prescritti nell’ambito dell’assistenza farmaceutica a pazienti affetti da Malattie Rare”.

	MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT	
---	--	--

4 DEFINIZIONI/ABBREVIAZIONI

NOME	SIGLA	DEFINIZIONE
Agenzia Regionale Strategica per la Salute ed il Sociale	AreSS	L'Agenzia regionale strategica per la salute e il sociale è stata istituita con la legge Regionale n. 29 del 24 luglio 2017. E' un organismo tecnico-operativo e strumentale della Regione a supporto della definizione e gestione delle politiche in materia sociale e sanitaria, a servizio della Regione Puglia in particolare e della pubblica amministrazione in generale e opera
Alimenti a fini medici speciali	AFMS	Erogabili a carico del Servizio sanitario nazionale per soggetti affetti da malattie metaboliche congenite o da fibrosi cistica <i>"Un prodotto alimentare espressamente elaborato o formulato e destinato alla gestione dietetica di pazienti, compresi i lattanti, da utilizzare sotto controllo medico; è destinato all'alimentazione completa di o parziale di pazienti con capacità limitata, disturbata o alterata di assumere, digerire, assorbire, metabolizzare o eliminare alimenti comuni o determinate sostanze nutritive in essi contenute o metaboliti, oppure con altre esigenze nutrizionali determinate da condizioni cliniche e la cui gestione dietetica non può essere effettuata esclusivamente con la modifica della normale dieta."</i>
Area Vasta		Regioni che utilizzano il SIMARP per diagnosticare la malattia rara e per redigere i relativi PTP
Classe di rimborsabilità		In Italia, in base alla rimborsabilità da parte del SSN, i farmaci sono classificati in tre principali categorie: Medicinali di classe A, rimborsabili dal SSN Medicinali di classe C, a carico del cittadino Medicinali di classe C-nn, autorizzati per l'immissione in commercio ma non ancora negoziati Medicinali di classe H, usabili solo in ambito ospedaliero e rimborsati dal SSN
Centro Territoriale Malattie Rare	CTMR	È inserito organizzativamente nella Rete Regionale Pugliese. L'obiettivo principale, condiviso col Piano Nazionale per le Malattie Rare, prevede interventi per migliorare l'assistenza alle persone con malattie rare e rendere più efficienti i servizi sanitari in riferimento alla prevenzione e all'assistenza; la priorità consiste nel porre in atto strategie ed azioni al fine di dare risposte concrete ai bisogni delle persone affette da patologie rare
Distribuzione diretta	DD	La distribuzione diretta è intesa come la dispensazione, per il tramite delle strutture sanitarie, di medicinali ad assistiti per la somministrazione al proprio domicilio
Distribuzione per conto	DPC	Distribuzione di medicinali ad assistiti per la somministrazione al proprio domicilio che avviene per conto della Regione attraverso specifici accordi per il tramite delle farmacie territoriali, pubbliche e private
EXTRA LEA		Prestazioni e servizi sanitari non ricompresi nei Livelli Essenziali di Assistenza
Livelli Essenziali di assistenza	LEA	Prestazioni e i servizi che il Servizio sanitario nazionale (SSN) è tenuto a fornire a tutti i cittadini, gratuitamente o dietro pagamento di una quota di partecipazione (ticket), con le risorse pubbliche raccolte attraverso la fiscalità generale (tasse). Il 18 marzo 2017 è stato pubblicato in Gazzetta Ufficiale (Supplemento ordinario n.15) il Decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri (DPCM) del 12 gennaio 2017 con i nuovi Livelli essenziali di assistenza.
Malattia rara	MR	Le malattie rare sono un cospicuo ed eterogeneo gruppo di patologie umane (circa 7.000-8.000) definite tali per la loro bassa diffusione nella popolazione (colpiscono non oltre 5 per 10.000 abitanti nell'Unione Europea)
Nomenclatore Tariffario		Individua nel dettaglio le categorie di persone con diritto all'assistenza protesica, le prestazioni che comportano l'erogazione dei dispositivi riportati negli elenchi 1, 2 e 3 del nomenclatore tariffario e le modalità di erogazione.- DM 27 agosto 1999 n. 332- Nuovo nomenclatore (Allegato 5 al DPCM 12 gennaio 2019) - Nel periodo tra l'entrata in vigore dei nuovi LEA e la pubblicazione del decreto con le tariffe, verranno erogate ancora le prestazioni e gli ausili elencati nel precedente nomenclatore
OFF LABEL		Impiego nella pratica clinica di farmaci già registrati ma usati in maniera non conforme a quanto previsto dal riassunto delle caratteristiche del prodotto autorizzato. ((Legge 94/98 art.3, comma 2 - ex Legge Di Bella) Legge 648/96
Presidio della Rete Nazionale	PRN	È un centro accreditato per una determinata malattia rara ed è l'unico che può fare diagnosi di malattia rara, anche attraverso i propri nodi

	MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT	
---	--	--

Programma terapeutico personalizzato	PTP	<p>Al momento della diagnosi lo specialista produce un Piano Terapeutico Personalizzato (PTP) così come previsto dal Piano Nazionale MR. Il PTP contiene quanto necessario per la cura e il follow up del paziente per la specifica malattia e le sue comorbidità. Lo specialista dovrà specificare cosa di quanto prescritto è LEA o extra LEA, ma essenziale e indispensabile per quello specifico assistito. Gli specialisti dei PRN di Puglia e Area Vasta producono i PTP in linea e forniscono una copia cartacea all'assistito. I PRN di tutte le altre regioni italiane forniscono il PTP cartaceo all'assistito. È poi il referente abilitato del rispettivo Distretto socio sanitario dell'assistito che inserisce il PTP nel SIMaRRP non assumendosi la responsabilità della prescrizione, ma solo quella della trascrizione.</p>
Rete Malattie Rare	RMR	<p>E' il modello scelto per lo studio, l'individuazione e la cura di patologie rare In Europa e in Italia composto da un centro nazionale di sorveglianza, presidi accreditati sul territorio nazionale e centri di coordinamento regionali</p>
Sistema Informativo Malattie Rare Regione Puglia	SIMaRRP	<p>"Registro di popolazione" che:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Gestisce direttamente l'attività di certificazione-esenzione a favore degli assistiti affetti da malattie rare*; • Opera un'analisi epidemiologica il cui flusso di dati, oltre ad alimentare l'analogo Registro Nazionale presso l'Istituto Superiore di Sanità, permette una corretta programmazione sanitaria; • Permette il monitoraggio in linea del Piano Terapeutico Personalizzato • Connette la rete dei Presidi della Rete Nazionale (PRN) con la rete dei Distretti Socio Sanitari (DSS) delle Aziende Sanitarie Locali (ASL) e delle Farmacie Territoriali e Ospedaliere con un meccanismo tale da consentire "assistenza" alle persone affette da malattia rara.
Uso compassionevole		<p>"La messa a disposizione, per motivi umanitari, di un medicinale ad un gruppo di pazienti affetti da una malattia cronica o gravemente invalidante o la cui malattia è considerata potenzialmente letale, e che non possono essere curati in modo soddisfacente con un medicinale autorizzato. Il medicinale in questione deve essere oggetto di una domanda di autorizzazione all'immissione in commercio a norma dell'art. 6 del Regolamento o essere sottoposto a sperimentazione".</p> <p>L'accesso al medicinale sperimentale prevede un'autorizzazione all'uso da parte del Comitato Etico nel cui ambito di competenza tale richiesta ha avuto origine (es. centro di diagnosi e cura), con la preventiva dichiarata disponibilità dell'Azienda farmaceutica produttrice alla fornitura gratuita del medicinale</p>

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

5 DESCRIZIONE ATTIVITÀ

Saranno di seguito descritte le attività di:

- Diagnosi e redazione del Programma Terapeutico Personalizzato (PTP) con le relative prescrizioni.
- Erogazione delle terapie farmacologiche e non farmacologiche ricomprese nei LEA.
- Gestione delle istanze per la concessione in forma gratuita di farmaci e/o prodotti sanitari Extra LEA, non rimborsati dal SSN.

Le specifiche inerenti le modalità di accesso ed utilizzo della piattaforma informatica SIMaRRP non sono oggetto della presente procedura essendo stato il personale preposto Referente per le Malattie Rare già formato sullo stesso. Per eventuali approfondimenti si rimanda ai contenuti della DGR n. 139 del 13/05/2019 e ss.mm.ii.

5.1 Diagnosi e redazione del Programma Terapeutico Personalizzato (PTP)

Il medico (Medico di Medicina Generale, Pediatra di Libera Scelta, Specialista) che pone il sospetto diagnostico di Malattia Rara (MR) deve indirizzare il paziente/legale rappresentante del paziente presso il Presidio della Rete Nazionale (PRN) di Malattia Rara, autorizzato e riconosciuto, compreso all'interno della Rete Nazionale Malattie Rare (RMR) regionale o italiana dove il paziente/legale rappresentante del paziente troverà uno specialista a tanto preposto ovvero lo **specialista di Presidio RMR**.

Nello specifico, per il territorio della ASL BT, per informazioni e consulenze è possibile rivolgersi al Centro di Riferimento Malattie Rare (Responsabile: Dott. Saverio Nenna, telefono 0883.299348, lunedì 10:30-12:30; mercoledì e venerdì, 10:30-12:30, saverio.nenna@aslbat.it) o al Coordinamento malattie rare Regione Puglia i cui contatti sono reperibili sul sito Puglia Salute al seguente link <https://www.sanita.puglia.it/web/rete-delle-malattie-rare/centri-di-riferimento>.

In alternativa, per eventuali ricerche dei Presidi della Rete per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, il paziente/legale rappresentante del paziente può

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

direttamente utilizzare i sistemi informatici digitando il nome della malattia o il codice di esenzione nel link <https://www.sanita.puglia.it/web/rete-delle-malattie-rare/ricerca-per-malattia>.

A livello aziendale² è stata, anche, creata una **Task Force** rete malattie rare, costituita da un medico e da un farmacista di riferimento per ogni distretto (i contatti sono riportati nell'Allegato 1). La task force collabora nell'informare i pazienti sui percorsi loro dedicati relativamente all'erogazione dei farmaci e si interfaccia per la verifica della rispondenza alle normative in vigore dei farmaci e dei beni sanitari inseriti nel PTP (es. se i prodotti sono LEA o EXTRA LEA, qual è la classe di rimborsabilità, se la documentazione a supporto è completa o da integrare, etc).

Infine, altra figura di riferimento aziendale è **il medico referente malattie rare aziendale, coordinatore del Centro Territoriale Malattie Rare (CTMR)** il quale, oltre all'attività consulenziale e di supporto, funge da raccordo funzionale tra l'area strategica della ASL BT, i Distretti Socio Sanitari, i reparti ospedalieri, il Dipartimento Farmaceutico e il Coordinamento Regionale Malattie Rare.

Lo specialista del Presidio RMR:

- all'esito delle valutazioni del caso, certifica la diagnosi di MR -ai fini del riconoscimento del diritto all'esenzione- tramite apposito certificato (Allegato 2);
- provvede alla stesura del PTP (Allegato 3), specificandone la durata. **Il PTP è rilasciato in due copie, una per il paziente/legale rappresentante del paziente e uno per il suo medico curante (Medico di Medicina Generale o Pediatra di Libera Scelta);**
- inserisce in Edotto (Sistema Informativo Sanitario Regione Puglia) le prescrizioni di farmaci che secondo la normativa in vigore sono erogati per il tramite delle Farmacie distrettuali, o i Piani Terapeutici per i farmaci per i quali è previsto, cui seguiranno poi le prescrizioni del Medico di Medicina Generale (MMG) o del Pediatra di Libera Scelta (PLS);
- prescrive i trattamenti non farmacologici (alimenti a fini medici speciali, i presidi e i dispositivi, etc) nelle modalità previste dalle normative nazionali e regionali in vigore (esplicitate e

² Nota Reg. prot. N. 24/459/SP del 27.10.2011; Disposiz. DG ASL BT n. N. 8700/01/04/2011; Nota DS N. 302/2011- aggiornato 2022

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

dettagliate in seguito).

Il paziente/legale rappresentante, dopo la diagnosi di MR, dovrà rivolgersi al **medico referente per le malattie rare del DSS** affinché sia avviata l'istruttoria per il rilascio dei farmaci al paziente.

Il medico referente per le malattie rare del DSS:

- acquisisce il certificato di diagnosi di malattia rara consegnato dal paziente o dal suo legale rappresentante e rilascia la relativa esenzione;
- verifica che sia presente il PTP all'interno del SIMaRRP oppure, se il centro prescrittore è un PRN fuori Area Vasta, provvederà egli stesso all'inserimento del PTP all'interno della piattaforma SIMaRRP;
- gestisce l'istruttoria del paziente a seconda della tipologia di prescrizione/bene sanitario richiesto, come da normative nazionali e regionali in vigore;
- può, eventualmente, contattare lo specialista prescrittore per la richiesta di integrazioni documentali.

Il certificato di diagnosi di malattia rara e il PTP devono essere obbligatoriamente inseriti all'interno della piattaforma SIMaRRP:

- **dallo specialista del Presidio RMR** della Regione Puglia o di una delle Regioni dell'Area Vasta che pone diagnosi

ovvero

nel caso in cui il clinico che pone diagnosi operi in un Presidio RMR di una Regione fuori dall'Area Vasta
- **dal medico referente per le malattie rare del DSS** di appartenenza del paziente

5.1.1 Brevi cenni sul PTP

Il PTP informatizzato è l'unica modalità prevista secondo la Deliberazione AReSS n.139/2019

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

per la richiesta dei trattamenti per i pazienti affetti da malattia rara.

Si distinguono due diversi livelli di trattamento:

- Trattamenti farmacologici che sono ricompresi nei LEA, quali ad esempio:

a) farmaci in classe A e A con nota AIFA, farmaci A/PHT in elenco DPC Regione Puglia. Questi sono prescritti dal MMG o dal PLS sulla base del PTP specialistico ed erogati per il tramite delle farmacie private convenzionate (salvo diverse disposizioni);

b) farmaci inclusi nell'elenco o negli allegati della legge 648/96, farmaci A/PHT non presenti in elenco DPC Regione Puglia, alcuni farmaci H;

c) farmaci importati dall'estero (ai sensi dei DM 11/05/2001 che definisce le procedure da applicarsi in caso di temporanea carenza di specialità medicinali, DM 02/12/2016 relativo ai vaccini o medicinali emo o plasma derivati, DM 11/02/1997 e successive modifiche per l'importazione di specialità medicinali registrate all'estero, DM 11/05/2001 che definisce modalità e modelli per l'importazione da parte della struttura ospedaliera, previo nulla osta di AIFA).

I farmaci di cui alle lettere b) e c) sono erogati in regime di Distribuzione Diretta dalle Farmacie Distrettuali del DSS di residenza del paziente.

- Trattamenti non farmacologici che ai sensi degli art. 13, 14 e 18 del DPCM 12/01/2017 rientrano nei LEA, ovvero:

- alimenti a fini medici speciali inclusi nel Registro nazionale istituito presso il Ministero della Salute, ai sensi dell'art.7 del D.M. 8/6/2001 e s.m.i., quali parte dell'assistenza integrativa garantita dal SSN solo per i pazienti affetti da malattia metaboliche congenite e preparati addensanti solo per i pazienti con grave disfagia affetti da malattie neuro-degenerative;

- presidi indicati nel nomenclatore di cui all'allegato 3 del DPCM 12/01/2017;

- dispositivi protesici, in relazione alle menomazioni correlate alla malattia rara (art. 18, comma 1, lettera h).

Sono erogati dalle Farmacie Distrettuali del DSS di residenza del paziente, previa specifica autorizzazione degli Uffici preposti del DSS in termini di tipologia e quantità dei prodotti e durata

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

del trattamento.

- Trattamenti farmacologici e non che non sono ricompresi nei LEA (Extra LEA), ovvero non rimborsati dal SSN, quali ad esempio:
 - Farmaci in classe C
 - Farmaci in classe C-NN, richiesti tramite opportuna modulistica aziendale (Allegato 4);
 - Farmaci off-label (ai sensi della Legge n. 94/98), non ricompresi negli elenchi e allegati della Legge 648/96, richiesti tramite opportuna modulistica aziendale (Allegato 5);
 - Preparazioni galeniche;
 - Farmaci expanded access o uso terapeutico o così detto “uso compassionevole” (ai sensi del DM8/5/2003 e DM7/9/2017 “Disciplina dell’uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica”)
 - Integratori;
 - Cosmetici;
 - Prodotti dietetici per pazienti con malattia diversa da quelle metaboliche congenite, preparati addensanti per i pazienti con grave disfagia affetti da malattie diverse da quelle neurodegenerative.
 - Trattamenti non farmacologici che non rientrano nei LEA come descritto dagli art. 13, 14 e 18 del DPCM 12/01/2017.comma 1, lettera h).

La spesa per i predetti trattamenti è a carico del paziente. Purtroppo, gli stessi possono essere erogati dalle Farmacie Distrettuali del DSS di residenza del paziente, con costi a carico della ASL (quindi non rimborsati dal SSN), previa specifica autorizzazione della **Commissione Aziendale Malattie Rare per la concessione di farmaci e presidi.**

La predetta Commissione, istituita in ossequio alla Disposizione regionale del 1 febbraio 2019³ è così composta:

³ **Disposizione Regionale AOO_0810547 del 01/02/2019** “Nota del Ministero della Salute AOO081 n.0540 del 01/02/2019 Oggetto: Nota del MS prot.n. 0040772-20/12/2018-DGPROGS-MDS-P recante “Quesito inerente la gestione delle richieste di prodotti prescritti nell’ambito dell’assistenza farmaceutica a pazienti affetti da Malattie Rare e/o Fibrosi Cistica (prot. n.100.18 del 10/07/18 Siveas)”- Precisazioni.

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

- Direttore Sanitario Aziendale;
- Responsabile UOS Farmacovigilanza e Monitoraggio della Spesa Farmaceutica;
- Medico referente malattie rare aziendale, coordinatore del CTMR;
- Segreteria (presso la Direzione Sanitaria).

5.2 Erogazione delle terapie farmacologiche e non farmacologiche comprese nei LEA

Le farmacie ospedaliere e/o i Servizi Farmaceutici Territoriali delle ASL hanno il compito di distribuire, nel periodo di durata del PTP, i trattamenti che seguono il canale ospedaliero (distribuzione diretta), richiesti dai medici prescrittori dei Centri di Riferimento autorizzati dalla Regione per la specifica malattia rara. Pertanto, il paziente/legale rappresentate dovrà recarsi con il PTP presso le Farmacie distrettuali per la acquisizione dei farmaci.

I Dirigenti Farmacisti che operano nelle farmacie distrettuali del DSS di appartenenza del paziente:

- verificano la documentazione a supporto della prescrizione, ovvero:
 - a) la presenza all'interno del SIMaRRP del PTP (inserito direttamente dal medico specialista del Presidio RMR o dal medico del distretto referente per le malattie), accedendo al sistema informatizzato delle malattie rare, tramite propria password e login, per visualizzare i trattamenti di cui approvvigionarsi e/o distribuire;
 - b) la presenza all'interno del Sistema Informativo Sanitario Edotto delle prescrizioni dei farmaci provenienti dai clinici pugliesi, sollecitando gli stessi in caso di inadempienza (anche eventualmente per il tramite delle loro Direzioni Sanitarie, nel caso di reiterata inadempienza) o provvedendo direttamente all'inserimento in Edotto nel caso di prescrizioni fuori Regione;
 - c) la presenza della modulistica regionale per presidi e dispositivi protesici, opportunamente autorizzati nella tipologia e nelle quantità dal DSS di residenza del paziente, secondo Nomenclatore Tariffario in vigore.
- Analizzano i singoli trattamenti richiesti nel PTP e provvedono a richiedere all'ufficio preposto

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

del Dipartimento Farmaceutico informazioni sulla presenza di eventuali gare regionali o provvedimenti di acquisto dei prodotti farmaceutici prescritti o di eventuali analoghi sovrapponibili a minor costo. Qualora questi ultimi siano presenti, laddove necessario, previo eventuale confronto con il medico prescrittore, anche mediante il supporto del medico referente per le malattie rare aziendale, il farmacista distrettuale provvederà alla sostituzione del farmaco e/o prodotti prescritti a minor costo. Qualora non vi siano gare regionali o provvedimenti di acquisto in essere, il farmacista distrettuale avvierà le procedure aziendali in vigore per una richiesta d'acquisto ad hoc, previa ricognizione dei fabbisogni aziendali. Per urgenze o continuità terapeutiche saranno attivati approvvigionamenti temporanei alternativi.

- Erogano i trattamenti secondo quanto previsto nel PTP e in linea con le normative nazionali e regionali ed eventuali disposizioni aziendali, a supporto della sostenibilità economica, soprattutto per l'alto costo.
- Gestiscono dal punto di vista informatico le dispensazioni attraverso le diverse piattaforme in uso (ad es, Edotto, AIFA, gestionale amministrativo per le operazioni di scarico dei beni sanitari mediante apposita causale).
- Sollecitano il medico referente malattie rare distrettuale, laddove non ancora avvenuto, ad inserire il PTP cartaceo, fuori Area Vasta per l'informatizzazione nella piattaforma SIMaRRP, mettendo a conoscenza la Commissione Aziendale Malattie Rare.

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

5.3 Erogazione delle terapie farmacologiche e non farmacologiche EXTRA LEA a seguito di valutazione e autorizzazione della Commissione Aziendale Malattie rare

I trattamenti Extra-LEA, presenti nella seconda sezione del PTP SIMaRRP, possono essere erogati in forma gratuita **solo previa valutazione e autorizzazione della Commissione Aziendale Malattie Rare**. Le richieste pervenute per pazienti affetti da Malattie Rare sono preventivamente istruite dai Distretti Socio Sanitari di residenza del paziente, per i prodotti EXTRA LEA da erogare a domicilio del paziente oppure da un Dirigente Medico della UU.OO., avallata dalla sottoscrizione del Responsabile della UU.OO., per i casi in cui i prodotti EXTRA LEA sono da somministrare in regime di ricovero.

Di seguito sono riportate le modalità di erogazione per i differenti setting assistenziali.

a) Prodotti EXTRA LEA da erogare a domicilio:

Il paziente/ legale rappresentante presenta al medico referente per le Malattie Rare del DSS di residenza il PTP e la relativa istanza per la concessione in forma diretta e gratuita di farmaci e prodotti Extra LEA (Allegato 6).

Il medico del DSS, prima di inoltrare l'istanza alla Commissione, verifica che sia presente tutta la documentazione necessaria per la richiesta dei beni sanitari Extra LEA. L'istanza per l'autorizzazione all'erogazione di beni sanitari Extra LEA, infatti, deve essere sempre corredata da:

- PTP informatizzato;
- relazione clinica redatta dal medico specialista del Presidio Centro di Riferimento della Malattia Rara attestante le condizioni eccezionali in cui il paziente si trova e le evidenze scientifiche, corredate da bibliografia a supporto, che giustificano l'indispensabilità e l'insostituibilità del trattamento proposto;
- certificato di esenzione per la specifica malattia rara;
- eventualmente, il medico referente del DSS ove lo ritenga opportuno potrà richiedere eventuali integrazioni ai clinici prescrittori.

Verificata la congruità della documentazione, il medico del DSS, formulerà ed invierà apposita

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

richiesta di valutazione (Allegato 7) per l'autorizzazione all'erogazione di solli beni sanitari Extra LEA alla Commissione Aziendale Malattie Rare corredata dalla documentazione sopra elencata.
Nei casi dubbi il medico di DSS può confrontarsi con il farmacista distrettuale referente della rete.

b) Prodotti EXTRA LEA da somministrare in regime di ricovero

Il medico della U.O. di degenza del paziente redige una richiesta, come da modulistica allegata (Allegato 8), avallata dalla firma del Responsabile della U.O. e corredata, nel caso si tratti di beni in continuità terapeutica da tutta la documentazione prima indicata (PTP informatizzato; relazione clinica redatta dal medico specialista del Presidio Centro di Riferimento della Malattia Rara attestante le condizioni eccezionali in cui il paziente si trova e le evidenze scientifiche, corredate da bibliografia a supporto, che giustifichino l'indispensabilità e l'insostituibilità del trattamento proposto; certificato di esenzione per la specifica malattia rara) che sarà fatta pervenire al Responsabile farmacista del Presidio Ospedaliero.

Il Responsabile farmacista del Presidio Ospedaliero provvede ad una preventiva valutazione della documentazione pervenuta per la richiesta dei beni sanitari Extra LEA e, poi, procederà all'inoltro della istanza alla Commissione Aziendale allegando tutta la documentazione sottoscrivendo anch'egli l'Allegato 8 ovvero, potrà procedere a richiedere, ove lo ritenga opportuno, eventuali integrazioni ai clinici prescrittori.

Nel caso si tratti di nuove prescrizioni, queste saranno valutate caso per caso, ma essenzialmente, solo i medici di Presidi Centro di Riferimento della Malattia Rara, specificatamente autorizzati, possono procedere alla richiesta nelle modalità prima descritte ovvero compilando l'Allegato 8 da sottoporre al Responsabile farmacista del Presidio Ospedaliero.

La Commissione Aziendale Malattie Rare, a seguito dell'arrivo della richiesta di erogazione delle terapie farmacologiche e non farmacologiche EXTRA LEA, prenderà visione delle istanze ricevute e provvederà a:

- verificare la completezza e la congruità della documentazione presentata dal paziente per il tramite del referente distrettuale malattie rare, richiedendo eventuali integrazioni documentali;

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

- esprimere parere favorevole o non favorevole, in quest'ultimo caso motivandolo, all'erogazione di farmaci e/o beni sanitari Extra LEA;

La Segreteria della Commissione Aziendale Malattie Rare, acquisito il parere della Commissione provvederà a:

- inviare l'esito della valutazione (Allegato 9: Modulo Esito Valutazione Istanza per la concessione in forma gratuita di trattamenti farmacologici e non Extra LEA a paziente affetto da Malattia Rara)
 - a) al medico referente MR del DSS di residenza del paziente che ha istruito la richiesta alla Commissione Aziendale Malattie Rare, al fine di provvedere ad informare il paziente, ovvero al Medico e al Responsabile della U.O. richiedente.
 - b) alla Farmacia distrettuale di residenza del paziente o al Responsabile Farmacista del Presidio Ospedaliero, per consentire di avviare le procedure di approvvigionamento dei beni sanitari che hanno ricevuto parere positivo,
 - c) ai componenti della Commissione (medico referente aziendale e Responsabile UOS Farmacovigilanza e Monitoraggio Spesa Farmaceutica) per archiviazione pratica.
- archiviare le istanze pervenute e le relative istruttorie.

Ricevuto il parere della Commissione Aziendale Malattie Rare il medico referente malattie rare distrettuale provvederà:

- ad avvertire il paziente dell'esito della istruttoria;
- in caso di esito positivo, dovrà inserire il PTP nel SIMaRRP completato con i prodotti Extra LEA che hanno avuto parere positivo dalla Commissione alla concessione in forma gratuita, per i PTP cartacei redatti da clinici fuori Area Vasta ovvero non dotati della piattaforma SIMaRRP.

Nel caso di richieste in regime di ricovero, sarà il Responsabile Farmacista del Presidio Ospedaliero che provvederà ad avvertire il medico/Responsabile UO richiedente dell'esito della istruttoria.

	<p>MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

In caso di parere POSITIVO:

I Dirigenti Farmacisti distrettuali o Ospedalieri, provvedono:

- all'erogazione dei farmaci e/o beni sanitari Extra LEA, in quantitativi congrui a coprire un fabbisogno terapeutico che tenga conto delle esigenze del paziente e alla sostenibilità del sistema sanitario (in linea con le normative nazionali, regionali ed eventualmente aziendali);
- alla gestione informatica dell'erogato all'interno del gestionale amministrativo in uso, mediante apposita causale;
- all'attuazione delle procedure aziendali in vigore per l'approvvigionamento dei farmaci e/o beni sanitari Extra LEA.

6 MATRICE DELLE RESPONSABILITÀ

Di seguito la tabella riassuntiva delle responsabilità relativamente ai soggetti che, a vario titolo, sono coinvolti nella presa in carico e nella fornitura dei farmaci MR.

Responsabile Attività	MMG, PLS, Medico specialista	Specialista del Presidio RMR	Medico Referente MR DSS	Farmacista territoriale del DSS	Dirigente Medico U.O. e Direttore/Referen- te Resp.	Respons. Farmacista Ospedaliero	Task force aziendale	Medico referente Malattie Rare Az.le	UOS Farmacovi- gilanza	Comm.ne Az.le Malattie Rare ASL BT
Sospetto diagnostico di MR ed indirizzo presso centri specialistici del paziente	R									
Certificazione della diagnosi di MR		R								
Stesura ed Inserimento PTP nel SIMaRRP e prescrizione trattamenti non farmacologici		R	R (se prescrizione fuori Area Vasta)							
Inserimento in Edotto prescrizione farmaci o piani terapeutici (LEA ed Extra-LEA)		R	R (se prescrizione fuori Area Vasta)	R (se prescrizione fuori Area Vasta)						
Rilascio esenzione MR e gestione istruttoria della pratica con eventuale richiesta integrazione pratica		C	R							
Istanza per farmaci e prodotti extra LEA in regime di ricovero					R	I				
Verifica istanza per richiesta farmaci e prodotti extra-LEA, con richiesta eventuali integrazioni, ed invio della richiesta		C	R			R				I
Valutazione dell'istanza ed espressione parere all'erogazione di farmaci e/o beni sanitari Extra LEA ed eventuale richiesta integrazione		C	C			C				R
Comunicazione parere della Commissione Az.le. Archiviazione delle istanze ed istruttorie			I	I		I		I		R (segreteria)



Comunicazione esito istanza all'erogazione di farmaci e/o beni sanitari Extra LEA al paziente			R	I	C	R				
Erogazione farmaci LEA ed Extra LEA previa verifica documentale				R		R				
Valutazione del PTP ed eventuale sostituzione farmaci in base alle gare		C		R		R				
Verifica avvenuta informatizzazione in SIMaRRP dei PTP ed eventuale segnalazione al Medico Referente MR distrettuale per il sollecito o l'inserimento			C	R		R				I
Gestione informatica dell'erogato				R		R				
Attività di supporto e di consulenza tra Area strategica, DSS, reparti ospedalieri, dipartimento farmaceutico e Coordinamento Regionale MR								R		
Informare i pazienti sui percorsi loro dedicati per l'erogazione dei farmaci, verifica della rispondenza alle normative in vigore dei farmaci e dei beni sanitari inseriti nel PTP							R			
Monitoraggio indicatori									R	

R= responsabile, C= collabora, I = informato

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	---	--

7 INDICATORI

L'informatizzazione della procedura è obiettivo cardine nella gestione delle pratiche per i farmaci erogati ai pazienti affetti da Malattia Rara.

A tal fine la UOS Farmacovigilanza e Monitoraggio della Spesa Farmaceutica provvederà al monitoraggio annuale del seguente indicatore. Al fine del raggiungimento dello standard regionale richiesto, la UOS Farmacovigilanza e Monitoraggio della Spesa Farmaceutica si farà promotrice delle azioni di miglioramento attraverso attività di formazione.

I dati del monitoraggio saranno inviati annualmente anche alla UOSVD Gestione Rischio Clinico e Qualità.

Indicatore	Standard	Strumenti di rilevazione
PTP SIMaRRP /PTP totali (informatizzati e cartacei) x 100	100%	Piattaforma SIMaRRP e archivio pazienti presso le farmacie territoriali

	MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT	
---	--	--

8 SCHEMA RIEPILOGATIVO EROGAZIONI LEA ED EXTRA LEA

TIPOLOGIA TRATTAMENTO	LEA O EXTRA LEA	CANALE DI DISTRIBUZIONE	AUTORIZZAZIONI PER L'EROGABILITA'	DOCUMENTAZIONE
Farmaci in classe A e A con nota AIFA, farmaci A/PHT in elenco DPC Regione Puglia	LEA	Farmacie pubbliche o private convenzionate		Ricetta MMG o PLS in base alle Determine AIFA specifiche del farmaco
Farmaci inclusi nell'elenco o negli allegati della legge 648/96	LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi Farmaceutici Territoriali dell'ASL		PTP SIMaRRP, Prescrizione Edotto, eventualmente Registro/Piano AIFA
Farmaci A/PHT non presenti in elenco DPC Regione Puglia e alcuni farmaci in fascia H in base alle specifiche Determine AIFA e note regionali	LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL		PTP SIMaRRP, Prescrizione Edotto, eventualmente Registro/Piano AIFA
Farmaci importati dall'estero ai sensi dei DM	LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL		PTP SIMaRRP, Modulo d'importazione, Prescrizione Edotto, eventualmente Registro/Piano AIFA
Alimenti a fini medici speciali per i pazienti affette da malattia metaboliche congenite e fibrosi cistica Preparati addensanti solo per i pazienti con grave disfagia affetti da malattie neuro-degenerative. (Art.14 DPCM 12/01/2017)	LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	AUTORIZZAZIONE DISTRETTO	Modulistica specifica regionale in vigore
Presidi indicati nel nomenclatore di cui all'allegato 3 del DPCM 12/01/2017 (Presidi per persone affette da patologia diabetica e da malattie rare) agli assistiti affetti dalle malattie rare specificate nell'allegato 7). Art.13 DPCM 12/01/2017)	LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	AUTORIZZAZIONE DISTRETTO	Modulistica specifica regionale in vigore
Dispositivi protesici, in relazione alle menomazioni correlate alla malattia rara di cui All'allegato 7 del DPCM 12/01/2017.Art.18 DPCM 12/01/2017	LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	AUTORIZZAZIONE DISTRETTO	Modulistica specifica regionale in vigore

Trattamenti non farmacologici (Alimenti a fini medici speciali, presidi e dispositivi protesici) che non sono previsti dagli art. 13, 14 e 18 del DPCM 12/01/2017	EXTRA LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	AUTORIZZAZIONE COMMISSIONE AZIENDALE	PTP SIMaRRP con Relazione clinica attestante le condizioni eccezionali in cui il paziente si trova e le evidenze scientifiche che ne giustificano l'indispensabilità e l'insostituibilità del trattamento proposto.
Alimenti a fini medici speciali per i pazienti affetti da malattia NON metaboliche congenita e Preparati addensanti per pazienti disfagici NON affetti da malattie neuro-degenerative	EXTRA LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	AUTORIZZAZIONE COMMISSIONE AZIENDALE	PTP SIMaRRP con Relazione clinica attestante le condizioni eccezionali in cui il paziente si trova e le evidenze scientifiche che ne giustificano l'indispensabilità e l'insostituibilità del trattamento proposto.
Farmaci in classe C-nn	EXTRA LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	AUTORIZZAZIONE COMMISSIONE AZIENDALE	PTP SIMaRRP con Relazione clinica attestante le condizioni eccezionali in cui il paziente si trova e le evidenze scientifiche che ne giustificano l'indispensabilità e l'insostituibilità del trattamento proposto e documentazione riportata nella modulistica Allegato 3, Prescrizione Edotto
Farmaci Off-label (ai sensi della Legge 94/98 non ricompresi negli elenchi e negli allegati della Legge 648/96)	EXTRA LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	AUTORIZZAZIONE COMMISSIONE AZIENDALE	PTP SIMaRRP con Relazione clinica attestante le condizioni eccezionali in cui il paziente si trova e le evidenze scientifiche che ne giustificano l'indispensabilità e l'insostituibilità del trattamento proposto e documentazione riportata nella modulistica Allegato 4., Prescrizione Edotto
Farmaci di fascia C	EXTRA LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	AUTORIZZAZIONE COMMISSIONE AZIENDALE	PTP SIMaRRP con Relazione clinica attestante le condizioni eccezionali in cui il paziente si trova e le evidenze scientifiche che ne giustificano l'indispensabilità e l'insostituibilità del

				trattamento proposto, Prescrizione Edotto
Preparazioni galeniche	EXTRA LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL anche per il tramite delle Farmacie private convenzionate	AUTORIZZAZIONE COMMISSIONE AZIENDALE	PTP SIMaRRP con Relazione clinica attestante le condizioni eccezionali in cui il paziente si trova e le evidenze scientifiche che ne giustificano l'indispensabilità e l'insostituibilità del trattamento proposto.
Integratori	EXTRA LEA	Farmacie ospedaliere e/o Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	AUTORIZZAZIONE COMMISSIONE AZIENDALE	PTP SIMaRRP con Relazione clinica attestante le condizioni eccezionali in cui il paziente si trova e le evidenze scientifiche che ne giustificano l'indispensabilità e l'insostituibilità del trattamento proposto.

	<p style="text-align: center;">MALATTIE RARE: MODALITA' DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI E DI GESTIONE DELLA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI E NON NELLA ASL BT</p>	
---	--	--

9 ELENCO ALLEGATI

- Allegato 1: Task Force Rete Malattie Rare Asl BT (aggiornamento gennaio 2022)
- Allegato 2: fac simile Certificato Diagnosi Malattia Rara
- Allegato 3: fac simile PTP SIMaRRP
- Allegato 4: Modulo richiesta farmaci C-nn
- Allegato 5: Modulo richiesta farmaci Off label
- Allegato 6: Istanza concessione Extra LEA paziente MR a domicilio
- Allegato 7: Istanza valutazione Extra LEA paziente a cura DSS
- Allegato 8: Istanza concessione Extra LEA paziente MR ricoverato
- Allegato 9: Modulo Esito valutazione Extra LEA