



ASL Brindisi

PugliaSalute

REGIONE PUGLIA
Azienda Sanitaria Locale della
Provincia di Brindisi

Procedura per la presentazione dell'istanza di autorizzazione alla
fornitura a carico del SSR dei farmaci e/o prodotti extra- LEA per

Assistiti affetti da
Malattia Rara

LISTA DI DISTRIBUZIONE

Direttori Distretti Socio Sanitari
Referenti Distrettuali Malattie Rare
Collaboratori Distrettuali dei Referenti Distrettuali Malattie Rare
Direttore Area Gestione Servizio Farmaceutico
Farmacisti Territoriali
Associazioni di Persone affette da Malattia Rara

La procedura di seguito riportata sarà soggetta a revisioni periodiche nel
rispetto delle normative di riferimento.

INDICE

1. Scopo/Obiettivo
2. Campo di applicazione
3. Definizioni, Terminologia ed Abbreviazioni
4. Diagramma di flusso
5. Descrizione delle attività
6. Riferimenti norme/leggi/delibere
7. allegati

1 Scopo/Obiettivo

Obiettivo della presente procedura è definire le modalità per la presentazione dell'istanza per l'erogazione a carico del Servizio Sanitario Regionale (SSR) di trattamenti (farmaci in fascia C ed altri prodotti generalmente acquistabili dagli Assistiti) prescritti dai medici specialisti dei Centri autorizzati dalle Regioni alla diagnosi e cura delle malattie rare in favore di persone affette da tali patologie.

L'erogazione di trattamenti extra-LEA a pazienti con malattia rara è contemplata nella nota Regionale Prot. AOO_081_0547 del 1 febbraio 2019 che stabilisce: *"...non è prevista la rimborsabilità in regime SSN dei prodotti extra-LEA prescritti per gli assistiti residenti nelle Regioni sottoposte a Piano di Rientro per la riqualificazione del SSR. Tuttavia, la nota ministeriale prevede che, in casi del tutto eccezionali, si possa presentare "...specifica istanza alla Asl per l'emanazione di un provvedimento ad hoc che disponga l'erogazione dei prodotti in questione, a seguito di una valutazione clinica che ne attesti la "indispensabilità e insostituibilità"...". A tal fine si ritiene che le suddette istanze, da presentarsi al Distretto Socio Sanitario di residenza dell'assistito corredate di dettagliata relazione clinica redatta dal Centro autorizzato dalla Regione alla diagnosi e cura della malattia rara, debbano essere valutate ed approvate da apposita commissione costituita dal Direttore Sanitario, del Direttore del Distretto Socio Sanitario, dal Direttore del Servizio Farmaceutico e dal responsabile Medico CTMR, con il supporto del Referente Medico Malattie Rare del Distretto di residenza dell'assistito, ai fini della successiva eventuale erogazione diretta in regime SSN.*

2 Campo di applicazione

La presente procedura è indirizzata :

- Ai Medici Specialisti Prescrittori;
- agli Assistiti affetti da malattia rara o a chi ne fa le veci;
- al personale sanitario operante nei DSS (Referenti Distrettuali Malattie Rare e Collaboratori) che fornisce supporto agli utenti affetti da malattie rare e/o agli aventi diritto (genitori, tutori, ecc. di persone affette da M.R.) in relazione alle diverse procedure comprese le istanze per l'erogazione a carico del Servizio Sanitario Regionale (SSR) di trattamenti (farmaci in fascia C ed altri prodotti) di regola acquistabili dagli assistiti;
- ai farmacisti territoriali dell'Area Gestione Servizio Farmaceutico;

- ai Componenti della Commissione Malattie Rare (Direttore Sanitario; Direttore DSS; Direttore Area Gestione Servizio Farmaceutico; Dirigente Medico Responsabile CTMR)

L'iter descritto si applica ogni volta che un Assistito affetto da malattia rara abbia ricevuto la prescrizione di trattamenti extra-LEA non rimborsabili dal SSN:

- Farmaci in fascia C
- Farmaci off-label (ai sensi della legge n°94/98) **non ricompresi negli elenchi e negli allegati della legge 648/96**
- Preparazioni galeniche
- Integratori **limitatamente a quelli inclusi nel Registro Nazionale istituito presso il Ministero della Salute**
- Cosmetici
- Prodotti dietetici inclusi nel Registro Nazionale **istituito presso il Ministero della Salute ai sensi del D.M 8 giugno 2001 e s.m.i.** per pazienti con malattie diverse da quelle metaboliche congenite e preparati addensanti per soggetti con grave disfagia affetti da patologie differenti da quelle neurodegenerative; il Piano Terapeutico di queste sostanze, inserito a cura dello specialista prescrittore nella quarta sezione del SIMaRRP dedicato alle formulazioni dietoterapiche, sarà valutato, per l'appropriatezza prescrittiva, dal Responsabile della UOA NAD della Asl di Brindisi e l'autorizzazione alla fornitura sarà apposta dal Referente Distrettuale delle malattie rare.

Non rientrano nel procedimento descritto i trattamenti farmacologici, prodotti o dispositivi compresi nei LEA ovvero :

1. Farmaci in classe A ed A con nota AIFA,
2. Farmaci A/PHT in elenco DPC Regione Puglia
3. Farmaci inclusi nell'elenco o negli allegati della legge 648/96 (Off-Label)
4. Farmaci A/PHT non presenti in elenco DPC Regione Puglia
5. Farmaci in fascia H(RR, RNRL, etc.)
6. Alimenti a fini medici speciali, **inclusi nel Registro Nazionale istituito presso il Ministero della Salute, ai sensi del DM 8 giugno 2001 e s.m.i.**, quale parte dell'assistenza integrativa garantita dal SSN limitatamente ai pazienti affetti da malattie metaboliche congenite ed preparati addensanti solo per i pazienti con grave disfagia da malattie neurodegenerative.

I farmaci di cui al punto 1 e 2 sono prescritti dai MMG o PLS sulla base del PTP specialistico ed erogati per il tramite delle Farmacie private convenzionate.

I farmaci ed i prodotti di cui ai punti 3,4,5,6 sono forniti in regime di distribuzione diretta dalla Farmacia Territoriale del DSS di residenza del paziente; limitatamente agli alimenti del punto 6 è necessario acquisire la preventiva autorizzazione del Referente Distrettuale Malattie Rare

3 Definizioni, Terminologia ed Abbreviazioni

<p>AREA VASTA :è un'area del Paese rappresentata dall'insieme delle Regioni che condividono lo stesso Sistema Informativo</p>
<p>CENTRO SOVRAZIENDALE MALATTIE RARE: Il Centro di assistenza e ricerca sovraziendale per le Malattie Rare e attivo presso l'Ospedale Consorziale Policlinico di Bari. A tale Centro è possibile rivolgersi per ricevere assistenza sia in caso di diagnosi certa di malattia rara sia in caso di sospetto o familiarità di malattia rara.</p>
<p>COMMISSIONE MALATTIE RARE: commissione costituita dal Direttore Sanitario, Direttore del Distretto Socio Sanitario, dal Direttore del Servizio Farmaceutico Territoriale dell'Azienda Sanitaria Locale e dal responsabile medico del CTMR.</p>
<p>CoReMaR: Il Coordinamento Regionale Malattie Rare istituito presso l'Aress assolve le seguenti funzioni:</p> <ul style="list-style-type: none"> a) coordinamento della rete pugliese delle malattie rare; b) gestione del Registro regionale e o interregionale delle malattie rare, coordinata con i registri territoriali e il registro nazionale; c) scambio delle informazioni e della documentazione sulle malattie rare con gli altri Centri regionali; d) coordinamento dei CIR e Presidi della Rete nazionale ai fini di garantire la tempestiva diagnosi e l'appropriata terapia anche mediante l'adozione di specifici protocolli concordati; e) consulenza e supporto ai medici in ordine alle malattie rare e alla disponibilità dei farmaci appropriati per il loro trattamento; f) attività di audit; g) formazione degli operatori sanitari e del volontariato; h) elaborazione di linee guida gestionali e diagnostico-terapeutiche; i) informazioni alle associazioni dei malati e dei loro familiari in ordine alle malattie rare e alla disponibilità dei farmaci
<p>CTMR: Centro Territoriale Malattie Rare; centro di informazione e di orientamento per la facilitazione di accesso ai servizi delle persone affette da malattie rare e delle famiglie.</p>
<p>DSS: Distretto Socio Sanitario.</p>
<p>ISTANZA: domanda presentata dall'Assistito o da chi ne fa le veci al DSS ai fini di ottenere l'autorizzazione all'erogazione dei trattamenti extra-LEA (farmaci in fascia C ed altri prodotti) a carico del SSR. Tali trattamenti sono normalmente acquistabili presso le farmacie aperte al pubblico a totale carico dell'assistito.</p>



LEA: Livelli Essenziali di Assistenza. I LEA sono le prestazioni e i servizi che il 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 LEA. Il nuovo Decreto sostituisce infatti integralmente il DPCM 29 novembre 2001, con cui i LEA erano stati definiti per la prima volta.

MEDICI SPECIALISTI PRESCRITTORI: medici specialisti dei Centri autorizzati dalle Regioni alla diagnosi e cura della malattia rara

NODO della rete regionale: una o più Unità Operative presenti nello stesso Ospedale/Azienda ospedaliera o in altri ospedali della Regione che nell'insieme costituiscono un PRN (vedi PRN).

PRN: Presidi della Rete Nazionale. Sono individuati per gruppi di malattie, attivi per le malattie indicate e sono costituiti da una o più Unità Operative presenti nello stesso Ospedale/Azienda ospedaliera o in altri ospedali della Regione indicati come **Nodi** della rete regionale.

PTP: Piano Terapeutico Personalizzato. Tutti i Medici Specialisti che operano in uno dei PRN dell'Area Vasta redigono il PTP utilizzando il modulo per le prescrizioni del Sistema Informatizzato condiviso e in tal modo il PTP stesso è disponibile in linea. In alternativa il PTP può essere redatto in forma cartacea da Medici Specialisti che operano in uno dei PRN *al di fuori* dell'Area Vasta: in questo caso copia del PTP viene consegnata dall'Assistito al Referente Distrettuale Malattie Rare che disporrà l'inserimento manuale del PTP nel Sistema Informatizzato.

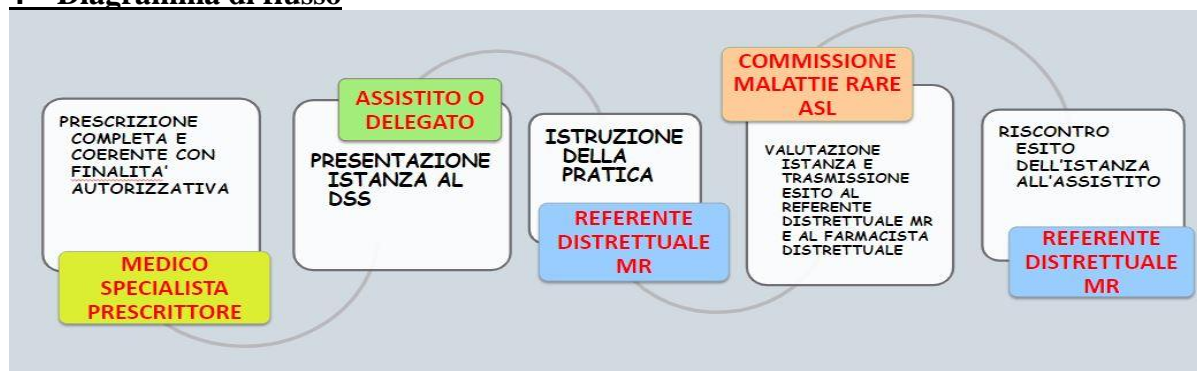
REFERENTE DISTRETTUALE MALATTIE RARE: medico operante presso il DSS di residenza dell'Assistito e che si occupa, con i suoi Collaboratori, delle pratiche relative alle persone affette da malattia rara di pertinenza della ASL Brindisi

SSN/SSR: Servizio Sanitario Nazionale/Regionale

SIMaRRP: Sistema Informativo Malattie Rare Regione Puglia a supporto della specifica Rete Regionale, che, attraverso la rete Intranet regionale RUPAR- Sistema Pubblico di Connettività (SPC), collega le Aziende ASL, i Distretti Socio-Sanitari e i Presidi Ospedalieri individuati. Esso gestisce direttamente l'attività di certificazione-esenzione a favore degli assistiti affetti da malattie rare ed i PTP tramite la condivisione dell'informazione sul paziente da parte degli attori coinvolti nel sistema. Lo stesso sistema informativo è utilizzato anche dalla Regione Veneto e dalle Province Autonome di Trento e Bolzano (che, in base all'accordo dell' 11 ottobre 2004, hanno realizzato *un'Area Vasta*

interregionale per le malattie rare) e dalle Regioni Emilia-Romagna, Campania, Umbria e Sardegna.

4 Diagramma di flusso



5 Descrizione delle attività

Le attività descritte sono le seguenti:

- a. Prescrizione completa e coerente con la finalità autorizzativa
- b. Presentazione istanza al DSS
- c. Istruzione Pratica
- d. Valutazione istanza da parte della commissione aziendale e trasmissione esito al Referente Distrettuale MR ed al Farmacista Territoriale
- e. Riscontro dell'esito dell'istanza all'Assistito

a. Prescrizione completa e coerente con la finalità autorizzativa

PTP redatto in Area Vasta

Il Medico Specialista Prescrittore del Centro Accreditato di una delle Regioni comprese in "Area Vasta" alla diagnosi e cura della malattia rara che, dopo attenta e accurata valutazione della persona malata, richieda *ad personam* specifici trattamenti extra-LEA, qualora li ritenga "**insostituibili e indispensabili**", deve inserire la prescrizione nel SIMaRRP, nella seconda sezione della funzione **GESTIONE PIANI TERAPEUTICI PERSONALIZZATI**.

La richiesta di trattamento extra-LEA deve essere accompagnata dalla compilazione in linea di una relazione clinica, attestante le condizioni di eccezionalità in cui il paziente si trova e le evidenze scientifiche che giustifichino l'indispensabilità e l'insostituibilità del trattamento proposto.

La sezione, infatti, si compone di varie parti che permettono al Medico Specialista di effettuare una prescrizione accurata e corretta del trattamento:



- **Tipologia del prodotto:** deve essere indicata la categoria del farmaco/prodotti extra-LEA prescritto (ad es. farmaco in fascia C o alimenti a fini Medici Speciali o integratore ecc.);
- **Specificità della condizione del paziente:** deve essere indicato il criterio clinico che ha determinato la prescrizione del trattamento nell'ambito della diagnosi specifica del paziente (ad esempio: *anemizzazione da menometrorragie nelle pazienti affette da Epidermiolisi Bollosa*).
- **Definizione della richiesta:** devono essere indicate le motivazioni che hanno indotto alla prescrizione, con i criteri della insostituibilità ed indispensabilità, del trattamento extra-lea; va, cioè, chiarito perchè viene prescritto proprio lo specifico farmaco in fascia C anzichè, magari, un altro della stessa categoria presente in fascia A; ovvero perchè viene prescritto uno specifico prodotto commerciale (ad es. *un integratore*) anzichè altri presenti sul mercato; il paziente, a titolo esemplificativo, potrebbe essere allergico/intollerante al farmaco in fascia A e risulta tollerante verso il farmaco in fascia C; in tal caso la richiesta è giustificata in presenza della scheda di segnalazione di reazione avversa inviata all'AIFA (vedi pdf scheda AIFA).
- **Bibliografia:** deve essere riportata almeno una evidenza scientifica, la più aggiornata possibile, che supporti la definizione della richiesta, l'indispensabilità e l'efficacia dello specifico trattamento prescritto e che sostenga l'appropriatezza e la sicurezza della terapia.

A tal proposito si ribadisce che le indicazioni generiche "come da Linee Guida", "Raccomandazioni Società Scientifica" ecc. senza che siano riportati i dettagli della pubblicazione cui si fa riferimento equivalgono ad una assenza di riferimenti bibliografici

- **PTP redatto FUORI Area Vasta**

Nel caso in cui il Medico Specialista Prescrittore che **operi in un Centro Accreditato alla diagnosi e cura della malattia rara di una delle Regioni AL DI FUORI DELL'AREA VASTA** ", richieda *ad personam* specifici trattamenti extra-LEA, "insostituibili e indispensabili", deve redigere un **PTP CARTACEO** che consegnerà al paziente o a chi ne fa le veci.

Il PTP CARTACEO deve comunque contenere tutte le informazioni necessarie a giustificare l'indispensabilità e insostituibilità dei farmaci/prodotti extra-LEA prescritti ed in particolare:

- **Tipologia del prodotto:** deve essere indicata la categoria del farmaco/prodotti extra-LEA prescritto (ad es. farmaco in fascia C o alimenti a fini Medici Speciali o integratore ecc.);
- **Specificità della condizione del paziente:** deve essere indicato il criterio clinico che ha determinato la prescrizione del trattamento nell'ambito della diagnosi specifica del paziente (ad esempio: *anemizzazione da menometrorragie nelle pazienti affette da Epidermiolisi Bollosa*).
- **Definizione della richiesta:** devono essere indicate le motivazioni che hanno indotto alla prescrizione, con i criteri della insostituibilità ed indispensabilità, del trattamento extra-lea; va, cioè, chiarito perchè viene prescritto proprio lo specifico farmaco in fascia C anzichè, magari, un altro della stessa categoria presente in fascia A; ovvero perchè viene prescritto uno specifico prodotto commerciale (ad es. *un integratore*) anzichè altri presenti sul mercato; il paziente, a titolo esemplificativo, potrebbe essere allergico/intollerante al farmaco in fascia A e risulta tollerante



verso il farmaco in fascia C; in tal caso la richiesta è giustificata in presenza della scheda di segnalazione di reazione avversa inviata all'AIFA (vedi PDF scheda AIFA).

- **Bibliografia:** deve essere riportata almeno una evidenza scientifica, la più aggiornata possibile, che supporti la definizione della richiesta, l'indispensabilità e l'efficacia dello specifico trattamento prescritto e che sostenga l'appropriatezza e la sicurezza della terapia.

A tal proposito si ribadisce che le indicazioni generiche "come da Linee Guida", "Raccomandazioni Società Scientifica" ecc. senza che siano riportati i dettagli della pubblicazione cui si fa riferimento equivalgono ad una assenza di riferimenti bibliografici

Tutti i Medici Prescrittori sono tenuti ad informare correttamente gli Assistiti circa la natura delle terapie prescritte e, in particolare, a chiarire che i trattamenti extra-LEA sono di norma acquistabili a totale carico dell'Assistito; in proposito, si ha la possibilità di richiedere alla ASL di appartenenza la concessione gratuita dei prodotti extra lea presentando apposita istanza al Distretto di Residenza.

Tale richiesta sarà valutata dalla Commissione Malattie Rare **che deciderà se approvarla o meno totalmente o in parte.**

b. presentazione istanza al Dss

Il paziente o chi ne fa le veci che riceva una prescrizione del Medico Specialista Prescrittore di trattamenti extra-LEA **normalmente acquistabili** nelle farmacie a carico dell'Assistito, **HA FACOLTA' di presentare** al DSS di residenza **SPECIFICA ISTANZA** per l'autorizzazione all'erogazione gratuita. (All.1).

Nella istanza vanno specificati:

- la malattia rara di cui si è affetti;
- il codice di esenzione per tale malattia (ex allegato 7 DPCM 12/01/2017);
- il tipo di trattamento prescritto (farmaci in fascia C, integratori per malattia rara ecc.)

Va allegato, il PTP redatto dal Medico Prescrittore del Centro Malattia Rara attestante l'indispensabilità e l'insostituibilità di quanto prescritto corredato da specifica Bibliografia.

L'Assistito o chi ne fa le veci può inviare l'istanza, redatta sul modulo All.1 con la documentazione richiesta, all'indirizzo e-mail del Referente Malattie Rare del DSS di residenza.

A tal fine potrà richiedere assistenza telefonica allo stesso Referente Malattie Rare del DSS di residenza ovvero al Dirigente Medico Responsabile del CTMR ASL Brindisi.

I recapiti telefonici e gli indirizzi e-mail sono reperibili sul sito web aziendale Asl Brindisi.

c. Istruzione pratica presso il Dss

Il Referente Distrettuale Malattie Rare e/o suoi Collaboratori assistono gli utenti affetti da Malattie Rare e/o gli aventi diritto (genitori, tutori, ecc. di persone affette da M.R.) in relazione alle istanze di autorizzazione all'erogazione gratuita per il/i trattamento/i non ricompresi nei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA) considerati indispensabili e insostituibili per la condizione specifica del paziente. In particolare :

- verificano la correttezza e completezza della documentazione allegata all'istanza;
- istruiscono la pratica per la richiesta di autorizzazione di trattamento/i extra- LEA per Malattia Rara.

Qualora la prescrizione sia stata fatta in un Centro Accreditato della Rete AL DI FUORI dell'Area Vasta i referenti distrettuali delle MR provvederanno all'inserimento manuale del PTP cartaceo nel SIMaRRP (vedi punto -PTP redatto FUORI Area Vasta);

E' necessario che i Referenti e/o i loro collaboratori chiariscano all'Assistito che i farmaci in fascia A inseriti nel PTP erogati a carico del SSR devono essere prescritti dal MMG/PLS e ritirati presso le Farmacie private convenzionate.

L'istanza viene inviata alla e-mail della Commissione Malattie Rare aziendale commissione.malattierare@asl.brindisi.it per essere valutata ed eventualmente approvata in tutto o in parte.

d. valutazione istanza e trasmissione esito al Referente Distrettuale MR ed al Farmacista Distrettuale



La Commissione aziendale Malattie Rare valuta le istanze con il supporto del Referente Distrettuale delle Malattie Rare, verificando sia l'appropriatezza della specificità della condizione del paziente e della definizione della richiesta, che l'evidenza e la coerenza delle fonti scientifiche citate a supporto della specifica prescrizione.

Al termine della valutazione la Commissione Malattie Rare aziendale esprimerà parere favorevole o non favorevole motivato, in tutto o in parte, all'erogazione a carico del SSN/SSR dei trattamenti extra-LEA prescritti.

A cura della Commissione il verbale con l'esito della valutazione viene inviato:

- al Referente Distrettuale Malattie Rare del DSS di appartenenza dell'assistito;
- al Responsabile della Farmacia Territoriale del DSS di appartenenza dell'assistito.

e. Riscontro dell'esito dell'istanza all'assistito.

Il Referente Distrettuale Malattie Rare e/o i suoi Collaboratori invieranno all'Assistito e/o agli aventi diritto (genitori, tutori, ecc. di persone affette da M.R.) l'esito della valutazione.

L'assistito o chi ne fa le veci si recherà presso la Farmacia territoriale competente per il ritiro dei trattamenti extra-LEA autorizzati all'erogazione gratuita.

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 private convenzionate		Ricetta MMG o PLS in basealle Determine AIFA specifiche del farmaco
Farmaci inclusi nell'elenco onegli allegati della legge 648/96	LEA	Servizi Farmaceutici Territoriali dell'ASL		PTP SIMaRRP, Prescrizione Edotto, eventualmente Registro/Piano AIFA
Farmaci importati dall'estero aiseni del DM 11.02.1997	LEA	Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL		PTP SIMaRRP, Modulo d'importazione, Prescrizione Edotto, eventualmente Registro/Piano AIFA
Farmaci A/PHT non presenti in elenco DPC Regione Puglia	LEA	Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL		PTP SIMaRRP, Modulo d'importazione, Prescrizione Edotto, eventualmente Registro/Piano AIFA
Farmaci fascia H (RR, RNRL, etc.)	LEA	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 ipazienti con grave disfagia affetti da malattie neuro- degenerative. (Art.14 DPCM 12/01/2017)	LEA	Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	AUTORIZZAZIONE DISTRETTO	PTP SiMarrp Sezione dedicata alle formulazioni dietoterapiche
Farmaci di fascia C	EXTRA LEA	Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	AUTORIZZAZIONE COMMISSIONE AZIENDALE	PTP SIMaRRP con Relazione clinica attestantele condizioni eccezionali in cui il paziente si trova e le evidenze scientifiche che ne giustificino l'indispensabilità e l'insostituibilità del trattamento proposto, Prescrizione Edotto



Alimenti a fini medici speciali per i pazienti affetti da malattia NON metaboliche congenite e Preparati addensanti per pazienti disfagici NON affetti da malattie neuro-degenerative, inseriti nel registro nazionale	EXTRA LEA	Servizi farmaceutici Territoriali dell'ASL	VALUTAZIONE DEL PTP DEL RESPONSABILE UOA-NAD ASL BRINDISI E AUTORIZZAZIONE REFERENTE DISTRETTUALE MALATTIE RARE	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 Off-label (ai sensi della Legge 94/98 non ricompresi negli elenchi e negli allegati della Legge 648/96)	EXTRA LEA	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 All. 4 Prescrizione Edotto
Preparazioni galeniche	EXTRA LEA	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 inseriti nel registro nazionale	EXTRA LEA	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.
Cosmetici	EXTRA LEA	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.



6 Riferimenti/Norme/Leggi/Delibere

- Nata Regionale Prot. AOO_081_0547 del 1 febbraio 2019 (*Nata prot. n. 0040772-20/12/2018- DGPROGS-MDS-P de/ Ministero de/la Salute recante "Regione Puglia. Quesita inerente la gestione de/le richieste di prodotti prescritti nell'ambito del/assistenza farmaceutica a pazienti affetti da Malattie Rare e/o Fibrosi Cistica." - Precisazioni Ministero de/la Salute.*)
- Nata Regionale Prot. AOO 081/1675 del 29/03/2019 (*Nota prot. Prot. AOO_081_0547 de/ 01/02/2019 inerente la gestione de/le richieste di prodotti prescritti nell'ambito del/assistenza farmaceutica a pazienti affetti da Malattie Rare.*)
- DPCM del 12 gennaio 2017 "*Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui al/artico/o 1, comma 7, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502*".
- DGR n. 1695 del 7 agosto 2012 [Art. 39 L.R. 4/2010. D.M. 279/2001. DGR n. 2283/2003 e s.m.i.
DGR n. 2845/2009. Istituzione del COREMAR e avvio del Sistema informativo delle Malattie Rare della Regione Puglia (SiMaRRP)]
- DGR n. 225 del 23 febbraio 2017 (*Istituzione ne//e Aziende Sanitarie Locali del Centro Territoriale per la Facilitazione di Accesso ai Servizi delle Persone affette da Malattie Rare e delle Famiglie "Il Filo di Arianna"*)
- *DGR n. 1491/2017 "DPCM 12 gennaio 2017 "Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza di cui al/art. 1, comma 7, del d.lgs. n. 502/92" Aggiornamento della Rete dei Presidi della Rete Nazionale (PRN) e Nodi della Rete Regionale Pugliese (RERP) accreditati per le malattie rare". (MODIFICHE E INTEGRAZIONI).*
- DGR n. 329 del 13 marzo 2018 e successive modifiche ed integrazioni

7 Allegati

ALLEGATO 1: Modulo per istanza al DSS di richiesta erogazione gratuita di trattamenti extra-LEA

ALLEGATO 2: Verbale Commissione Malattie Rare di autorizzazione trattamenti extra-LEA

ALLEGATO 3: Modulo comunicazione esito valutazione della commissione farmaci extra-LEA

ALLEGATO 4: Modulo richiesta farmaci Off-Label

N.B. In coda al presente documento è riportata, in formato pdf la Scheda AIFA Sospetta Reazione avversa paziente

AII.1

Al Referente Distrettuale Malattie Rare
Dss _____

Il sottoscritto/a

.....
Padre/madre/tutore dell'assistito

.....
affetto da cod. Patologia
Rara ricompresa nell'elenco delle Malattie Rare di cui al D.P.C.M 12/01/2017, recapito telefonico
.....e-mail.....,

consapevole che i trattamenti extra-LEA (farmaci in fascia C ed altri prodotti) sono normalmente acquistabili a carico degli assistiti

CHIEDE

L'autorizzazione all'erogazione a carico del Servizio Sanitario Regionale del/i trattamento/i extra/LEA riportati nel Piano Terapeutico allegato alla presente istanza come previsto dalla nota Regione Puglia prot. N. AOO_81/0547 del 0102/2019 e prot AOO_081/1675 del 29/03/2019.

In particolare chiede la dispensazione del/i seguente/i trattamento/i

A tal fine allega:

- PTP con dichiarazione di **INDISPENSABILITA'** ed **INFUNGIBILITA'** del Centro di Riferimento;
- Relazione clinica che specifica **la tipologia del prodotto** (es. farmaco in fascia C), **la Specificità della condizione del paziente**, la **Definizione della Richiesta** e la **Bibliografia**;
- Copia del libretto Sanitario ove sia registrato il codice di esenzione per Malattia Rara;
- Documento d'identità dell'assistito e del padre/madre/tutore

Distinti saluti

Data ___ / ___ / _____

FIRMA

All.2

RICHIESTA AUTORIZZAZIONE DI TRATTAMENTO/I EXTRA-LEA PER MALATTIA RARA
nota Regione Puglia prot.n. AOO_081/0547 del 01/02/2019 e prot. n. AOO_081/1675 DEL 29/03/2019

Vista richiesta del Sig./Sig.ra _____ nato/a il _____ e residente a _____ in via _____
affetto/a da Malattia rara _____ Cod. _____ che richiede la dispensazione del/dei trattamento/i extra-LEA

-Il Direttore del Distretto S.S. _____ Dr./Dr.ssa _____

Verificata la correttezza della documentazione allegata all'istanza da parte del Referente distrettuale per le Malattie Rare esprime

- ✓ **PARERE FAVOREVOLE** per la fornitura dei farmaci/prodotti extra Lea prescritti
- **PARERE NON FAVOREVOLE** per la fornitura dei farmaci/prodotti extra Lea prescritti

Data _____

Direttore del Distretto
f.to _____

-Il Direttore dell' Area Farmaceutica Territoriale Dr./Dr.ssa PAOLA DI GIORGIO

Esperate le verifiche e valutazioni di competenza esprime

- ✓ **PARERE FAVOREVOLE** per la fornitura dei farmaci/prodotti extra Lea prescritti
- **PARERE NON FAVOREVOLE** per la fornitura dei farmaci/prodotti extra Lea prescritti

(Il PARERE FAVOREVOLE è da intendersi limitatamente ai principi attivi attualmente disponibili come da gara regionale/aziendale)

Data _____

Dott.ssa Paola Di Giorgio
f.to _____

-Il Responsabile CTMR Dr./Dr.ssa ANNAMARIA MAZZOTTA

Esperate le verifiche e valutazioni di competenza esprime

- ✓ **PARERE FAVOREVOLE** per la fornitura dei farmaci/prodotti extra Lea prescritti
- **PARERE NON FAVOREVOLE** per la fornitura dei farmaci/prodotti extra Lea prescritti

Data _____

Acquisiti i pareri del Direttore del DSS di residenza del richiedente, del Direttore dell'Area Farmaceutica e del Responsabile CTMR

Si **AUTORIZZA** l'erogazione, con le limitazioni indicate e per il tramite del Servizio di Farmacia Territoriale in indirizzo, dei farmaci e/o del/i prodotto/i prescritti

NON SI **AUTORIZZA** l'erogazione di:



Data _____

IL DIRETTORE SANITARIO ASL BR

All.3

Al Sig./Sig.ra _____

Oggetto: richiesta autorizzazione trattamento extra-LEA-RISCONTRO.

In riferimento alla richiesta in oggetto specificata trasmessa a questo Distretto in data _____
n. prot. _____

Si comunica che la Commissione Aziendale per la valutazione dei trattamenti extra-LEA

- ha autorizzato la fornitura del/i farmaco/i prescritto/i
(riportare i farmaci/integratori autorizzati)

- non ha autorizzato la fornitura del/i farmaco/i prescritto/i:
(riportare i farmaci/integratori NON autorizzati e le motivazioni)

Data e luogo _____

Firma

All.4

ASL Brindisi PugliaSalute		RICHIESTA NOMINATIVA FARMACO OFF-LABEL	
<p>La legge 94/98 (c.d. "Legge Di Bella") prevede che i <u>n singoli casi e in assenza di valide alternative terapeutiche</u>, un medico possa usare, in particolari situazioni cliniche, un farmaco off-label, ossia un medicinale, che risulta non conforme a quanto previsto dall'RCP, riguardo a indicazioni terapeutiche, controindicazioni d'uso (es. diversa fascia d'età), dosaggi (differenti da quello previsto dallo schema posologico autorizzato), modalità di somministrazioni alternative. L'onere economico del medicinale non è rimborsato dal SSN (a meno che non sia ricompreso negli elenchi della Legge 648/96), pertanto, il loro uso è riconducibile temporaneamente ad un impiego "Extra-LEA", con costi posti interamente a carico dell'ASL, previa valutazione e autorizzazione della Direzione Sanitaria (BURP n.36 dell'08-3-2007)</p>			
Al Direttore Sanitario Asl Br Per il tramite della Commissione Malattie rare			
TIPOLOGIA RICHIESTA			
<input type="checkbox"/> Prima richiesta di autorizzazione		<input type="checkbox"/> Richiesta di rinnovo autorizzazione	
DATI DEL RICHIEDENTE			
Nome e Cognome		Email	Tel.
Attività	<input type="checkbox"/> Medico Ospedaliero <input type="checkbox"/> Specialista Ambulatoriale <input type="checkbox"/> Altro	U.O.	
Azienda			
DATI DEL PAZIENTE			
Nome e Cognome		Data di nascita	Sesso
Codice Fiscale		ASL di Residenza	F <input type="checkbox"/> M <input type="checkbox"/>
			DSS
MALATTIA RARA	SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/>	COD. ESENZIONE MR _____	
FARMACO RICHIESTO (obbligo di compilazione di tutti i campi)			
Principio attivo	Nome		
Forma farmaceutica	commerciale		
Via di somministrazione	Dosaggio		
Durata del trattamento	Posologia		
Unità posologiche previste			
INFORMAZIONI CLINICHE			
Relazione clinica <i>Per consentire la valutazione della richiesta ai fini autorizzativi il clinico prescrittore <u>ALLEGA</u> relazione clinica dettagliata per singolo paziente, sottoscritta dal Responsabile dell'Unità Operativa, che</i>			
<input type="checkbox"/> <i>comprenda: patologia da trattare, razionale d'uso, benefici attesi, possibili effetti indesiderati, dichiarazione di singolarità del caso e assenza di valida alternativa terapeutica a carico del SSN per il caso specifico, assunzione di responsabilità del trattamento</i>			
<input type="checkbox"/> <i>Letteratura a supporto (studio almeno di fase seconda) della richiesta comprovante l'efficacia e la sicurezza del farmaco richiesto relativo alla tipologia di off-label che si intende impiegare</i>			
<input type="checkbox"/> <i>esiti del trattamento (in caso di rinnovo con una periodicità che dipende dal farmaco somministrato e dalla patologia, ma che non potrà in ogni caso superare i 6 mesi dall'inizio del trattamento) Note</i>			
Il medico richiedente (e/o il Responsabile dell'Unità Operativa)			
DICHIARA: 1) che il trattamento con il medicinale prodotto industrialmente per un'indicazione o via di somministrazione o modalità di somministrazione o di utilizzazione diversa da quella autorizzata avviene sotto la propria diretta responsabilità e secondo quanto previsto dalla legge 94/98 e della Legge 24/12/2007, n.244 art.2, comma 348, ¹ 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 quella modalità di somministrazione; 2) che sussiste impossibilità di accesso al farmaco gratuitamente ai sensi del D.M. 7 settembre 2017 "Disciplina dell'uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica." (quando previsto).			
SI IMPEGNA: 1) ad acquisire il consenso informato del paziente e conservare in cartella clinica dopo eventuale autorizzazione della Direzione Sanitaria; 2) a fornire una relazione sull'andamento clinico del caso , che descriva i risultati ottenuti rispetto quelli attesi e gli eventuali eventi avversi.			
TIPOLOGIA OFF-LABEL			
<input type="checkbox"/> INDICAZIONE		<input type="checkbox"/> LINEA TERAPEUTICA*	
<input type="checkbox"/> DOSAGGIO		<input type="checkbox"/> COMBINAZIONE DI FARMACI*	
<input type="checkbox"/> VIA DI SOMMINISTRAZIONE		<input type="checkbox"/> ALTRO*	



	<input type="checkbox"/> ETA' *SPECIFICARE	Timbro e firma Medico richiedente	
	Data richiesta _____	Timbro e firma Responsabile U.O.	
	<p>¹ Legge n.94/98 Art.3, comma 2 (Legge Di Bella) "In singoli casi il medico può, sotto la sua diretta responsabilità e previa informazione del paziente e acquisizione del consenso informato dello stesso, impiegare un medicinale prodotto industrialmente per un'indicazione o una via di somministrazione o una modalità di somministrazione o di utilizzazione diversa da quella autorizzata, <i>omissis</i> qualora il medico stesso ritenga, in base a dati documentabili, che il paziente possa essere utilmente trattato con medicinali per i quali sia già approvata quella indicazione terapeutica o quella via o modalità di somministrazione e purché tale impiego sia noto e conforme a lavori apparsi su pubblicazioni scientifiche accreditate in campo internazionale" Legge 24,12,2007, n.244 art.2, comma 348 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.</p>		
	VALUTAZIONE DOCUMENTAZIONE		
spazio riservato alla commissione aziendale Malattie Rare	Farmaco ricompreso negli elenchi dei medicinali off-label rimborsati dal SSN nell'ambito della Legge 648/96	<input type="checkbox"/> SI	<input type="checkbox"/> NO
	Necessaria documentazione ad integrazione dell'istanza di autorizzazione	<input type="checkbox"/> SI	<input type="checkbox"/> NO
	Note		
	ESITI VALUTAZIONE		
spazio riservato al Direttore Sanitario	<input type="checkbox"/> SI AUTORIZZA	<input type="checkbox"/> NON SI AUTORIZZA	
	Motivazioni in caso di mancata autorizzazione		
	Timbro e firma Direttore Sanitario		
	Data valutazione istanza _____		