

# XV Congresso Nazionale CARD ITALIA

Bologna 8-10 giugno 2017

- **Esperienza di assistenza domiciliare integrata pubblico/privato per la gestione di malattie rare**
- Dr. Vincenzo LOLLI
- Direttore U.O.C. Farmacia
- Ospedale di Adria
- D.ssa Silvia de Struppi
- Servizio di Farmacia Ospedaliera Mirano Ulss 13
- (Responsabile D.ssa Daniela Barzan)

# DECRETO REGIONALE VENETO N.15



REGIONE DEL VENETO

giunta regionale

DECRETO N. **15** DEL **- 1 MAR. 2016**

OGGETTO: Approvazione del documento "Somministrazione per infusione a domicilio di farmaci ad alto costo per persone affette da malattia rara" redatto dalla Commissione Tecnica Regionale Farmaci.

NOTE PER LA TRASPARENZA:

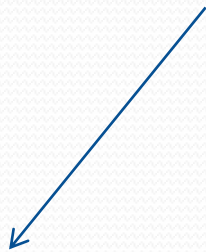
Con il presente provvedimento si approva il documento redatto dalla Commissione Tecnica Regionale Farmaci che definisce il percorso per l'eventuale somministrazione domiciliare per infusione di medicinali ad alto costo per pazienti affetti da malattia rara.

**XV Congresso Nazionale  
CARD ITALIA  
Bologna 8-10 giugno 2017**

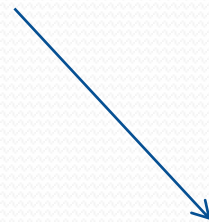
COMMISSIONE SALUTE RIUNIONE 27.03.2013

“Documento sulla somministrazione a domicilio di farmaci ad alto costo per persone con malattia rara”

SCOPO Definire un percorso condiviso per la somministrazione domiciliare per infusione di medicinali ad alto costo per malattie rare



Garantire uguali standard di sicurezza rispetto alla somministrazione in ospedale



Assicurare nelle reti di assistenza le necessarie interazioni che rendono possibile l'erogazione e la somministrazione domiciliare delle terapie

## MODALITA' OPERATIVE . Il medico del Centro di riferimento accreditato per la specifica malattia rara che ha in cura il paziente e a cui è affidata la responsabilità clinica:

- **prescrive** il medicinale all'interno del Piano Terapeutico Personalizzato (PTP) tramite il Registro Regionale delle Malattie Rare informatizzato (nel caso di regioni non collegate al sistema informativo del Veneto, è il distretto di residenza che inserisce nel registro il PTP redatto da un Centro di riferimento fuori regione, come già ordinariamente effettuato);
- **indica**, nel Registro Regionale delle Malattie Rare informatizzato alla come centro che somministra il farmaco il Distretto socio-sanitario e contatta il Coordinamento malattie rare (la somministrazione del medicinale al di fuori delle strutture del Centro stesso, potrà avvenire dopo un adeguato periodo di controllo e monitoraggio, acquisendo il consenso informato del paziente o del legale rappresentante);
- **monitora** l'andamento della terapia tramite controlli clinici, in collaborazione con i professionisti dell'ULSS di residenza coinvolti, ed effettua anche le eventuali variazioni terapeutiche.

## MODALITA' OPERATIVE : il Distretto Socio-Sanitario

- **organizza l'Unità Valutativa Multidimensionale (UVMD)** per definire il *setting* appropriato per la somministrazione del farmaco (ospedale dell'Azienda ULSS di residenza, Distretto sociosanitario o domicilio del paziente);
- **convoca il MMG o il PLS e tutti i professionisti** coinvolti ivi comprese le farmacie ospedaliere e/o territoriali (per l'approvvigionamento del farmaco) per definire il piano assistenziale del paziente e la modalità per la somministrazione del farmaco;
- **qualora venga individuata la possibilità di somministrazione domiciliare ma non siano disponibili infermieri afferenti all'Azienda ULSS (distrettuali, delle Medicine di Gruppo Integrate, ecc.) si fa carico di individuare un soggetto esterno nel rispetto delle procedure di evidenza pubblica e lo convoca per la condivisione del piano assistenziale;**
- **contatta il paziente e/o la sua famiglia per comunicare il piano di assistenza e le modalità**
- **operative e organizzative in esso contenute.**

## MODALITA' OPERATIVE : MMG o PLS

- **Partecipa** all'UVMD e alla definizione del piano assistenziale domiciliare del proprio assistito
- **Garantisce** la disponibilità telefonica negli orari previsti, relativamente alla somministrazione del medicinale
- **Monitora** il percorso terapeutico e le condizioni cliniche del paziente, segnalando le eventuali reazioni avverse e l'andamento dei maggiori parametri di efficacia clinica previsti dalle schede di monitoraggio presenti nel Registro informatizzato, contribuendo in tal modo alla decisione delle eventuali variazioni di terapeutiche prescritte dal medico del Centro di riferimento



## MODALITA' OPERATIVE : Infermiere

- **Somministra** il medicinale al domicilio del paziente, secondo le buone prassi e le prescrizioni previste dal piano assistenziale definito in sede di UVMD
- **Inserisce i dati** sulla somministrazione e sugli eventuali eventi avversi nel Registro Regionale delle Malattie Rare informatizzato tramite la funzione “Gestione somministrazione farmaci orfani” o li comunica al Distretto socio-sanitario per l’inserimento nel Registro Regionale.

## MODALITA' OPERATIVE : Coordinamento malattie rare

- **Implementa** il Registro Regionale delle Malattie Rare per la parte relativa alla gestione della somministrazione dei farmaci a domicilio
- **Effettua consulenza** nei confronti degli operatori dei servizi
- **Raccoglie le richieste** dei Centri e contatta i Distretti agendo da facilitatore nella creazione delle reti tra Centri, Distretti, Farmacie Ospedaliere e Servizi Farmaceutici Territoriali, MMG, PLS e Medicine di Gruppo Integrate per la presa in carico del paziente

## MODALITA' OPERATIVE : Farmacia Ospedaliera

- Provvede all’approvvigionamento
- distribuzione diretta dei farmaci
- Registra richieste erogazioni nel Registro delle Malattie Rare informatizzato

# Caso Clinico

Paziente maschio di anni 46. che viene ricoverato in urgenza in ambito nefrologico per la comparsa di grave insufficienza renale.



# CASO CLINICO

REGIONE VENETO  
AZIENDA ULSS 18  
ROVIGO

UNITA' OPERATIVA COMPLESSA  
NEFROLOGIA  
VIALE TRE MARTIRI-45100 ROVIGO  
TEL. 0425 393095-393443  
nefrologia.ro@azisanrovigo.it

19/02/2015

Dirttore

Al Medico Curante di

diagnosi di "Insufficienza renale cronica stadio IV° e proteinuria non nefrosica" Ricoverato in data 13/02/2015 per riacutizzazione dell' IRC e proteinuria già nota da Aprile 2014 e trattata in altra sede con ciclo di steroidi per os ( Medrol 16 mg e ciclosporina ) senza risultati clinici.

Anamnesi : Ipertensione arteriosa ; Trait talassemico ; Ipertrofia prostatica con elevati valori di PSA. Tonsillectomia in età infantile per tonsillite recidivante e malattia reumatica

Durante ricovero in data 17/02/2015 è stato sottoposto ad ago biopsia renale senza complicanze al fine di chiarire la patogenesi della nefropatia . Il referto sarà disponibile fra circa 15 giorni . Inoltre è stato valutato dal collega urologo per la nota ipertrofia prostatica ed elevati e persistenti valori di PSA; consiglia ciclo di terapia antibiotica con levofloxacina 250 mg die per circa 15 giorni e successivo controllo del PSA, eco vescico-prostatica , con valutazione di eventuale ristagno post-minzionale ;eco prostatica trans rettale . Eventuale successiva agobiopsia prostatica

Alla dimissione le condizioni cliniche generali sono buone,ridotti gli edemi declivi

# CASO CLINICO

UNITA' LOCALE SOCIO SANITARIA 18 - ROVIGO

Divisione di Cardiologia

Primario Dott.L.Roncon

Sede: Viale Tre Martiri-tel:0425/393281

Rovigo: 09/04/2015

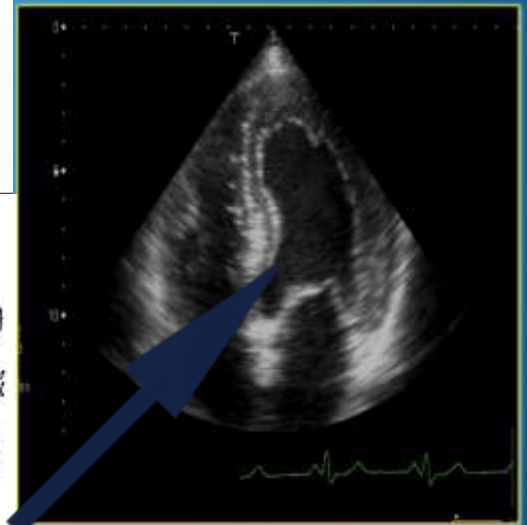
Archivio: 84769

Provenienza: Esterno

Indicazioni: malattia di Fabry

## Ecocardiogramma M-mode, 2D, Doppler e Color-Doppler

**Conclusioni:** Ventricolo sx con marcata ipertrofia concentrica, ecostruttura finemente granulata iperreflettente, di normali dimensioni e volume, lieve ipocinesia diffusa e lieve depressione della funzione sistolica globale; disfunzione diastolica di classe III-IV; atrio sx e destro ai limiti superiori della norma; insufficienza mitralica lieve in valvola con lembi ispessiti e iperreflettenti; insufficienza aortica minima, radice aortica lievemente ectasica; ventricolo destro severamente ipertrofico con fx sistolica ancora conservata; versamento pericardico lieve, emodinamicamente neutro.




# CASO CLINICO

Centogene AG • Schillingallee 68 • 18057 Rostock • Germany

**CENTOGENE**  
THE RARE DISEASE COMPANY

Centogene AG  
Schillingallee 68  
18057 Rostock / Germany  
Tel.: +49 (0)381 203652 0  
Fax: +49 (0)381 203652 19  
Mail: office@centogene.com  
Web: www.centogene.com



Dr. Paolo Scaramuzzo  
Ospedale Civile Rovigo Soc Nefrologia  
Rovigo  
Italy

Final Report

Date: 23.03.2015

We conclude that the patient is suffering from Fabry disease, due to a mutation in the GLA gene.

Best regards,



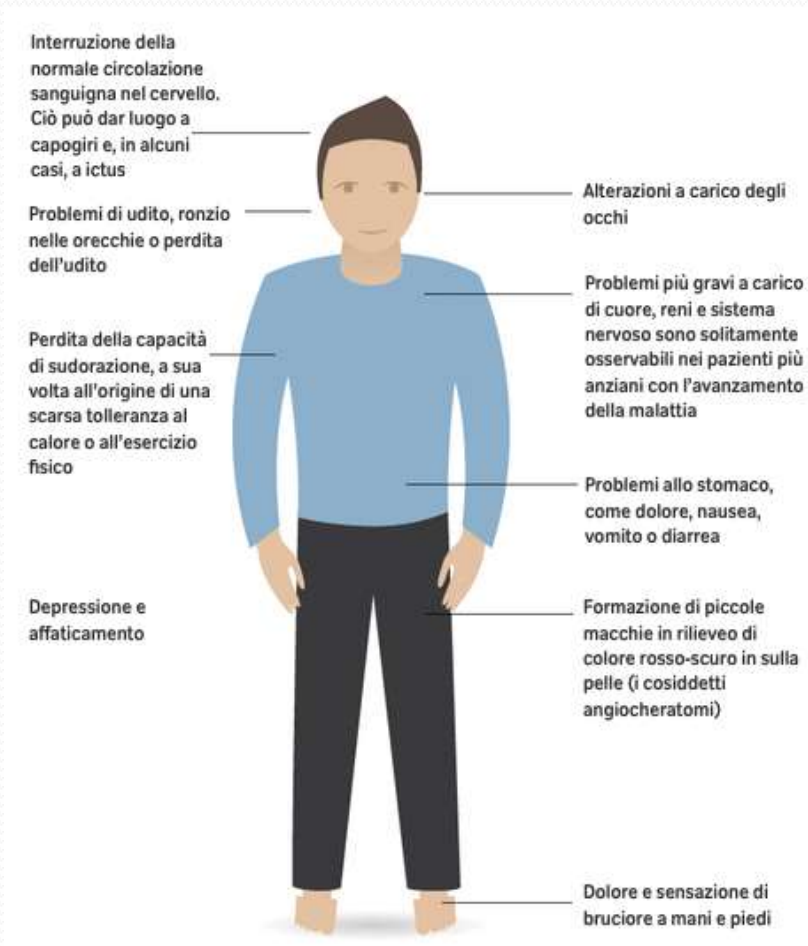
Prof. Arndt Rolfs, MD  
Chief Medical Director



Kristin Schmidt, MSc.  
Vice-Director HTS department (Genetics)

## Esperienza di assistenza domiciliare integrata pubblico/privato per la gestione di malattie rare.

- La malattia di Fabry è una malattia da deposito lisosomiale multisistemica, progressiva ed ereditaria.
- Si caratterizza per interessamento neurologico, cutaneo, renale, cardiovascolare, cocleovestibolare e cerebrovascolare.





## Esperienza di assistenza domiciliare integrata pubblico/privato per la gestione di malattie rare.

- L'incidenza annuale è di 1/80000 nati vivi
- La patogenesi deficit del metabolismo dei glicosfingolipidi (alfa-galattosidasi A)
- Diagnosi è laboratoristica
- Prognosi (riduzione di aspettative di vita di 10/20 anni rispetto alla media



# Caso Clinico

- Agalidasasi alfa e beta son i principi attivi di due formulazioni enzimatiche ricombinanti, disponibili per la terapia sostitutiva a lungo termine nella malattia di Fabry





# Caso Clinico

Alla luce della diagnosi clinica e successiva conferma laboratoristica, i clinici hanno optato per un trattamento con agalsidasi alfa (Replagal)

## Replagal Clinical Studies

Study	Design	# Pts	Duration
<b>NIH Clinical Study</b>			
TKT001	Open label, dose escalation safety study	38	single dose
TKT003	Randomized, double blind, placebo controlled	26	6 months
TKT006	Open label maintenance study for patients completing TKT003	25	1-yr
TKT011	Open label maintenance study for patients completing TKT006	24	1-yr interim analysis
<b>APH Clinical Study</b>			
TKT005	Randomized, double blind, placebo controlled	15	6 months
<b>University of Mainz Clinical Study</b>			
TKT014	Open label safety and efficacy trial in females	15	3 - 12 months
<b>TOTAL</b>	<b>Multidose Studies</b>	<b>58</b>	<b>&gt; 2% yrs</b>



# Caso Clinico

Si tratta di proteina alfa-galattosidasi A umana prodotta con tecniche di ingegneria genetica da linee cellulari umane.


Concentrazione 1 mg/ml


Somministrazione (a settimane alterne)  
0,2 mg/kg mediante infusione della durata 40 minuti





# Caso Clinico

Dal novembre 2015 il paziente è stato gestito mediante infusione ogni 15 giorni, presso il reparto di medicina dell'ospedale di Adria

 **REGIONE Veneto**  
Azienda Ospedaliera di Padova  
Nefrologia II


Facsimile Piano Terapeutico Personalizzato (PTP) n.   
(valido dal 24/04/2016 al 24/04/2017)

del signor   
C.F.  T.S.  
con esenzione per malattia rara RCG080 (ex DM 279/01)

Trattamento	Posologia	Note
AGALSIDASI ALFA - REPLAGAL*IV INF FL 1MG/ML3,5ML	0,2 mg pro kilo ogni 7 giorni	Farmaco Orfano

**Note:**  
Paziente affetto da malattia di Fabry, il paziente presenta una forma di malattia molto aggressiva utile trattamento settimanale per sei mesi poi da rivalutare.

Data Stampa  
27/04/2016

Timbro dell'unità operativa  




# Decreto e Convenzione

Per la somministrazione di un  
farmaco  
Al domicilio di un pz dell'aulss  
19

 Regione Veneto  
**Azienda U.L.S.S. n. 19**  
Piazzale degli Etruschi, 9 - 45011 Adria (RO)

Comuni di Adria  
Ariano sul Polesine  
Carbato  
Lecce  
Papozze

Pettorazzo Grimaldi  
Porto Tolle  
Porto Viro  
Rosalim  
Teglio di Po

UOSD Affari Generali  
Tel. 0426.940518 - Fax 0426.940546 PEC: protocollo.uls19@pvcveneto.it

---

**DECRETO DEL COMMISSARIO** **COPIA**

Il Commissario coadiuvato dai Direttori:

	PRESENTE	ASSENTE
Direttore Sanitario	X	
Direttore Amministrativo	X	
Direttore dei Servizi Sociali e della Funzione Territoriale	X	

e assistito dal Segretario Verbalizzante, adotta il seguente decreto.

N. 201  
DEL 05/04/2016

**OGGETTO:** Programma di somministrazione domiciliare per la malattia di Fabry

XV Congresso Nazionale  
CARD Italia  
Bologna 8-10 Giugno 2017

# Decreto e Convenzione

 **Regione Veneto**  
**Azienda U.L.S.S. n. 19**  
Piazzale degli Etruschi, 9 - 45011 Adria (RO)

Caselli di Adria  
Ariano sul Polesine  
Carbato  
Lecce  
Papozze

Pettorazzo Orlesani  
Porto Tolle  
Porto Viro  
Rosalina  
Taglio di Po

UOSD Affari Generali  
Tel. 0426.940518 - Fax 0426.940546 PES; protocollo.uls19@pecveneto.it

---

**DECRETO DEL COMMISSARIO** **COPIA**

Il Commissario coadiuvato dai Direttori:

	PRESENTE	ASSENTE
Direttore Sanitario	X	
Direttore Amministrativo	X	
Direttore dei Servizi Sociali e della Funzione Territoriale	X	

e assistito dal Segretario Verbalizzante, adotta il seguente decreto.

N. 201  
DEL 05/04/2016  
OGGETTO: Programma di somministrazione domiciliare per la malattia di Fabry

## DECRETA

- 1) di aderire al programma di somministrazione domiciliare per la malattia di Fabry;
- 2) di sottoscrivere l'allegata convenzione quale parte integrante del presente provvedimento;
- 3) di precisare che per l'Azienda Ulss 19 di Adria la sottoscrizione della convenzione in parola non comporta alcun impegno di spesa in quanto i costi sono interamente sostenuti dalla [redacted] spa;



**DECRETO DEL COMMISSARIO**

**COPIA**

Il Commissario coadiuvato dai Direttori:

Direttore Sanitario  
Direttore Amministrativo  
Direttore dei Servizi Sociali e della Funzione Territoriale

PRESENTE	ASSENTE
X	
X	
X	

e assistito dal Segretario Verbalizzante, adotta il seguente decreto.

N. 201

DEL 05/04/2016

OGGETTO: Programma di somministrazione domiciliare per la malattia di Fabry

- 4) di individuare come responsabile aziendale dell'esecuzione del servizio oggetto del presente provvedimento il Direttore del Distretto;
- 5) di trasmettere al Direttore dell'U.O.C. Farmacia ed al Direttore del Distretto di Adria, per gli opportuni seguiti di competenza copia del presente provvedimento e dell'allegata convenzione;
- 6) di dichiarare il presente provvedimento immediatamente eseguibile ai sensi della vigente normativa.





Regione Veneto  
**Azienda U.L.S.S. n. 19**  
 Piazzale degli Struzzi, 9 - 45011 Adria (RO)

Caserta di Adria  
 Adria sul Po  
 Colonna  
 Loro  
 Papozze

Pontezzo Orlandi  
 Porto Tolle  
 Porto Viro  
 Rosolina  
 Togliatto

UOSD Affari Generali  
 Tel. 0426.940518 - Fax 0426.900546 PEC: protocollo.uls19@pov.veneto.it

**DECRETO DEL COMMISSARIO**

**CGPIA**

Il Commissario costituito dai Direttori:

PRESENTE	ASSENTE
X	
X	
X	

Direttore Sanitario  
 Direttore Amministrativo  
 Direttore dei Servizi Sociali e della Funzione Territoriale

o assistito dal Segretario Verbalizzante, adotta il seguente decreto.

N. 201

DEL 05/04/2016

OGGETTO: Programma di somministrazione domiciliare per la malattia di Fabry

XV Congresso Nazionale  
 CARD Italia  
 Bologna 8-10 Giugno 2017

- La ditta ha evidenziato come tale servizio permetta il trattamento enzimatico sostitutivo direttamente a domicilio del paziente ed ha sottolineato che il servizio di somministrazione a domicilio del farmaco sarà erogato in forma totalmente gratuita sia per l'ULSS 19 di Adria che per il paziente.

# Riepilogando

- L'Azienda Convenzionata è specializzata nei servizi di assistenza extra ospedaliera e domiciliare e il personale è costituito da medici e infermieri Professionali
- L'Azienda Convenzionata deve avere i requisiti per poter contrarre con la pubblica amministrazione e dovrà prestare servizio a regola d'arte
- Il personale incaricato deve avere i requisiti tecnici e soggettivi idonei alla prestazione del servizio con adeguata formazione sulla malattia, la terapia, i protocolli di infusione e il trattamento e gestione del farmaco

# Riepilogando

- Il programma ha l'obiettivo di migliorare la qualità di vita del paziente e l'efficacia terapeutica
- Il farmaco rientra nella categoria dei farmaci di fascia H con possibile somministrazione domiciliare come da scheda tecnica
- La convenzione non impone oneri né per il paziente né per l'Azienda
- Il programma mette a disposizione un'assistenza personalizzata per la somministrazione domiciliare del farmaco secondo quanto indicato dal PT
- Il programma garantisce un'assistenza telefonica da parte del personale infermieristico e/o amministrativo da parte della ditta convenzionata

# TAKE HOME MESSAGE

- Questa esperienza dimostra come sia possibile ed auspicabile la collaborazione sempre più stretta tra ospedale e territorio nella gestione di patologie e quindi pazienti un tempo ritenuti "complessi" e come tali relegati esclusivamente in ambito ospedaliero.
- Ovviamente ciò non può prescindere da una fattiva e reale collaborazione tra le varie figure professionali coinvolte.
- Alla luce soprattutto delle particolari contingenze storiche (difficoltà economiche) che caratterizzano il nostro tempo.

**Grazie per l'attenzione**