

MALATTIE RARE:  
DEFINIZIONE DI UN PERCORSO CONDIVISO PER LA PRESCRIZIONE E  
LA FORNITURA DEI TRATTAMENTI FARMACOLOGICI  
E NON FARMACOLOGICI

**AGGIORNAMENTO AI SENSI DELLA L.R. N. 23/2015, DELLE REGOLE DI SISTEMA REGIONALI DEL  
2017 (DGR X/5954 DEL 5/12/2016) E DEL D.P.C.M. 12.1.2017.**

Dicembre 2017

Regione Lombardia  
Direzione Generale Welfare  
U.O. Programmazione Polo Ospedaliero  
Struttura Farmaco Dispositivi e HTA

**Gruppo di lavoro:**

Daria Bettoni – ASST Spedali Civili Brescia

Erica Daina – IRCCS Istituto Mario Negri- CCMR

Mirosa Dellagiovanna – ATS Pavia

Federica Falcone – RL- DGW- UO Polo Ospedaliero

Luisa Gervasio – IRCCS Neurologico Mondino – Pavia

Anna Malesci – ASST Sette Laghi

Massimo Medaglia – RL-DGW- Struttura Farmaco Dispositivi e HTA

Giovanna Monina – ASST Valle Olona

Maurizia Punginelli - ATS Insubria

Isabella Ruggeri – ATS Milano Città Metropolitana

Francesca Venturini – IRCCS Ospedale Maggiore Policlinico - Milano

## PREMESSA

Il presente documento ha lo scopo di aggiornare, alla luce delle rilevanti innovazioni introdotte dalla L.R. n. 23/2015 e dai nuovi LEA, il percorso uniforme a livello regionale per la presa in carico del paziente affetto da malattia rara, precedentemente definito ai sensi delle Regole di sistema regionale 2014.

Ciò al fine di facilitare l'accesso del paziente affetto da malattia rara alle terapie appropriate, specificando il ruolo dei Presidi della Rete Malattie Rare (di seguito Presidi RMR), delle ASST/IRCCS, delle ATS, dei MMG/PDF e del Centro di Coordinamento Regionale delle Malattie Rare (di seguito CCRM) a seconda che si tratti di:

- ✓ assistito lombardo in cura presso Presidio RMR lombardo;
- ✓ assistito lombardo in cura presso Presidio RMR extra regione;
- ✓ assistito non lombardo in cura presso Presidio RMR lombardo.

Tali ruoli verranno declinati considerando le diverse fasi della presa in carico del paziente:

- Diagnosi e redazione del piano terapeutico;
- Prescrizione ed erogazione della terapia farmacologica;
- Continuità di cura;
- Accesso ai trattamenti non farmacologici;

La Delibera della Giunta Regionale Lombarda n° VII/7328 del 2001, attraverso l'istituzione della rete regionale delle malattie rare costituita dai Presidi di Rete delle Malattie Rare (RMR) e da un Centro di Coordinamento Malattie Rare (CCMR, <http://malattierare.marionegri.it>), ha recepito quanto stabilito dal DM 279 del 18/5/2001, ovvero che i pazienti affetti dalle malattie rare ricomprese nell'aggiornato elenco ministeriale hanno diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo per i farmaci necessari alla cura delle stesse.

Tale indirizzo è stato confermato in successivi provvedimenti e, più recentemente, l'obiettivo di migliorare l'assistenza e la qualità di vita, con particolare riguardo alla domiciliazione delle cure, è stato richiamato nelle Regole di Sistema Socio Sanitario Regionale, divulgate annualmente.

Con D.P.C.M. 12.1.2017 *“Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'articolo 1, comma 7, del D. Lgs. 30.12.1992, n. 502”* (pubblicato nella G.U. n. 65 del 18.3.2017), sono stati recentemente aggiornati i livelli essenziali di assistenza (LEA). Il nuovo DPCM, integralmente sostitutivo del precedente DPCM del 29.11.2001, ha aggiornato, tra l'altro, l'elenco delle malattie rare esenti, cui si riferisce il presente documento.

Nello specifico, l'art. 52 del DPCM 12.1.2017 prevede che le persone affette dalle malattie rare indicate nel relativo Allegato 7 abbiano diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo delle

correlate prestazioni di assistenza sanitaria. Ai sensi della disciplina transitoria di cui al successivo art. 64, dette disposizioni sono entrate in vigore il 15.09.2017.

La DGR n. 7063 del 11.9.2017, in fase di prima applicazione, ha individuato i Presidi per le nuove malattie rare esenti previste dal citato D.P.C.M. ed ha conseguentemente aggiornato la rete dei presidi delle Malattie rare, che attualmente è costituita da 46 Presidi.

### **Assistenza farmaceutica in Regione Lombardia**

Ai sensi della DGR 18475 del 2004, come confermato dalle successive Delibere delle Regole annuali, è prevista l'esenzione dalla compartecipazione alla spesa sanitaria per l'assistenza farmaceutica per i soggetti affetti da patologie rare esenti, appartenenti ad un nucleo familiare con reddito complessivo non superiore a 46.600 euro, incrementato in funzione della composizione del nucleo familiare secondo i parametri desunti dalla scala di equivalenza della tabella 2 al D. Lgs. n.109/98 e successive modifiche (Esenzione **E40**).

Per i soggetti affetti da malattie rare aventi un reddito superiore a quello innanzi indicato la compartecipazione alla spesa sanitaria è di 1 euro a confezione fino ad un massimo di 3 euro per ricetta per i farmaci correlati alla patologia.

In sintesi ai pazienti lombardi affetti da malattie rare possono essere forniti gratuitamente:

- ⇒ **tutti i farmaci registrati sul territorio nazionale:** classe A, H, C e, previa autorizzazione della competente Struttura presso DG Welfare, Cnn;
- ⇒ **i farmaci inseriti negli elenchi speciali** predisposti dall'AIFA secondo legge 648/96 e sue estensioni
- ⇒ **i farmaci registrati all'estero**, limitatamente all'impiego autorizzato nel paese di provenienza

Particolare attenzione va riservata alla prescrizione di **farmaci off-label**, siano essi ricompresi o meno nel Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA) della malattia rara, come specificato nei paragrafi successivi.

E' necessario ricordare che, sia a livello nazionale che regionale, i fondi per i farmaci/trattamenti prescritti ai pazienti affetti da malattia rara, ad eccezione di tre medicinali che ad oggi rientrano nel fondo dedicato ai farmaci innovativi non sono da considerarsi "extrabudget", bensì sono ricompresi nel finanziamento sanitario nazionale della spesa farmaceutica e partecipano alla definizione del "tetto di sistema" nazionale e regionale. Come soprariportato, solamente tre farmaci per malattia rara rientrano nel fondo nazionale per farmaci innovativi (ivacaftor, cellule autologhe CD34+, nusinersen) ma la disponibilità di tale fondo è comunque definita ed al suo utilizzo concorrono tutte le regioni. Lo specialista del Presidio RMR è responsabile della prescrizione appropriata, effettuata

quindi dopo averne opportunamente valutato il rapporto rischio/beneficio per il paziente oltre al rapporto costo/beneficio, al fine di supportare la sostenibilità del SSR per consentire l'accesso alla terapia al maggior numero di pazienti.

## **I PRESIDI DI RETE: DIAGNOSI E REDAZIONE DEL PIANO TERAPEUTICO**

Il medico che pone il sospetto diagnostico di malattia rara deve indirizzare il paziente presso il Presidio RMR in grado di garantire la diagnosi della specifica patologia e la prescrizione della terapia appropriata.

Lo specialista del Presidio RMR è l'unico che può certificare la diagnosi di malattia rara ai fini del riconoscimento del diritto all'esenzione tramite specifico certificato (certificato di diagnosi di malattia rara). E' sempre compito dello specialista prescrivere l'eventuale terapia farmacologica su apposito Piano Terapeutico predisposto a livello regionale (scheda per la prescrizione di farmaci). Quest'ultimo ha validità massima di un anno ed è rinnovabile esclusivamente dal medico specialista del Presidio RMR. Copia di detta scheda deve pervenire al medico curante (MMG o PDF).

La scheda per la prescrizione di farmaci è disponibile nel sistema web-based denominato RMR (Rete Malattie Rare) che opera nel circuito CRS-SISS.

## **PRESCRIZIONE ED EROGAZIONE DELLA TERAPIA FARMACOLOGICA**

Il Percorso descritto di seguito è da applicarsi per **l'assistito lombardo in cura presso Presidio RMR lombardo**.

### **INIZIO**

Il prescrittore del Presidio RMR lombardo, dopo l'accertamento diagnostico, deve essere in grado di garantire l'erogazione delle terapie prescritte e provvedere all'inizio di quelle a somministrazione ospedaliera, per una opportuna valutazione della loro efficacia e tollerabilità. Il mancato inizio di terapia presso il Presidio RMR può esporre l'assistito al rischio di rimanere privo e/o ritardare la necessaria assistenza specialistica.

L'erogazione, a seconda della tipologia di terapia, può avvenire:

- ⇒ direttamente dal Presidio RMR: farmaci A-PHT e C non reperibili presso le farmacie aperte al pubblico, farmaci H, esteri, farmaci inseriti negli elenchi L.648 e sue estensioni, comprese eventuali formulazioni galeniche, farmaci off-label, farmaci "per uso

compassionevole” e farmaci Cnn (in quest’ultimo caso previa autorizzazione regionale della competente Struttura presso DG Welfare);

- ⇒ tramite ricettazione SSR: farmaci A-PHT se reperibili presso le farmacie aperte al pubblico, farmaci A, C e formulazioni galeniche esitabili dalle stesse, ovvero non in regime di L.648/96. La prescrizione SSR su ricetta cartacea RUR o dematerializzata può essere effettuata sia dallo specialista del Presidio di RMR che dal MMG/PDF sulla base del Piano Terapeutico redatto dallo specialista RMR.

Con particolare riferimento ai farmaci off-label, lo specialista che opera in un Presidio RMR può prescrivere un farmaco off-label, inserendolo nel Piano Terapeutico, quando:

- ⇒ l’impiego proposto sia previsto negli elenchi speciali della Legge 648/96 e sue estensioni ;
- ⇒ l’impiego sia previsto dal PDTA regionale per la specifica malattia rara (<http://malattierare.marionegri.it/content/view/123>)
- ⇒ in casi non contemplati ai punti precedenti, laddove siano comunque disponibili almeno dati favorevoli di sperimentazioni cliniche di fase seconda.

Qualora tali dati non siano disponibili dovrà essere acquisita l’autorizzazione da parte del CCMR, a seguito di invio, tramite la propria Farmacia Ospedaliera, della seguente documentazione:

- piano terapeutico
- relazione clinica
- richiesta di utilizzo di farmaco off label.

*(a tal fine si allega a fine documento il modulo “tipo” che può essere utilizzato per la richiesta di parere).*

Nei casi di utilizzo off-label dovranno essere soddisfatte **tutte** le condizioni previste dalla Legge 94/98 e di seguito riportate:

- 1) il paziente non può essere trattato utilmente con medicinali già approvati;
- 2) assunzione di responsabilità da parte del medico prescrittore;
- 3) acquisizione del consenso informato da parte del paziente o del legale rappresentante.

Il trattamento farmacologico off-label necessita di specifico follow up secondo quanto stabilito dalla Legge 648/96. Per gli ulteriori utilizzi previsti a livello regionale, il medico prescrittore del Presidio RMR ha la responsabilità del monitoraggio clinico. Pertanto, semestralmente, in occasione della richiesta di aggiornamento dei centri regionali, deve trasmettere al Referente Aziendale per le Malattie Rare e al Direttore di Farmacia una relazione sulla casistica trattata, sui trattamenti prescritti per singolo paziente con indicazione dell’inizio terapia e sui relativi esiti, indicando i dati di minima di seguito indicati:

- Valutazione della terapia: nessuna risposta; risposta al momento non valutabile; risposta parziale; risposta completa;
- Reazioni avverse osservate in corso di terapia: no; sì (con descrizione ed inserimento della segnalazione di sospetta reazione avversa in Vigifarmaco);
- Fine trattamento - esito: miglioramento; risposta assente o insufficiente; reazione avversa; decesso; altro (specificare).

La U.O. Farmacia provvederà a completare, per ciascun paziente, la relazione pervenuta con eventuali dati di spesa di competenza relativamente alle terapie off-label e a trasmettere la stessa al CCMR.

Il CCMR produrrà annualmente un resoconto delle terapie off-label per malattia rara pianificando, quando opportuno, specifici progetti di monitoraggio degli esiti e della sicurezza di tali trattamenti.

### **Uso compassionevole**

In riferimento al D.M. 7 settembre 2017 "Disciplina dell'uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica", in caso di malattie rare o tumori rari, è previsto l'uso terapeutico (uso compassionevole) di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica per il quale siano disponibili studi clinici almeno di fase I, già conclusi e che abbiano documentato l'attività e la sicurezza del medicinale, ad una determinata dose e schedula di somministrazione, in indicazioni anche diverse da quella per la quale si richiede l'uso compassionevole. In tal caso la possibilità di ottenere un beneficio dal medicinale deve essere ragionevolmente fondata in base al meccanismo d'azione ed agli effetti farmacodinamici del medicinale. Ogni richiesta va sottoposta alla valutazione del competente Comitato Etico. La richiesta di medicinali, per i quali siano disponibili solo studi clinici di fase I, è presentata all'azienda farmaceutica dal medico che dirige il centro clinico individuato dalla regione per il trattamento delle malattie rare o il centro clinico appartenente alla Rete Nazionale dei Tumori Rari. Tale disposizione non si applica ai medicinali di terapia avanzata, per i quali trova applicazione il DM 16 gennaio 2015, "Disposizioni in materia di medicinali per terapie avanzate preparati su base non ripetitiva" (autorizzazione AIFA).

### **CONTINUITA' DI CURA**

La continuità di cura deve essere assicurata in prima istanza dal Presidio RMR ed eventualmente da una struttura sanitaria più vicina alle necessità del paziente.

Infatti, il paziente può richiedere esplicitamente, anche per il tramite del legale rappresentante, di poter disporre della continuità di cura presso altra struttura sanitaria (di solito più vicina alla propria residenza), evitando così frequenti spostamenti che possono risultare economicamente onerosi e/o gravosi in termine di tempo necessario, con conseguente peggioramento della qualità della vita.

Questa possibilità si applica solo nel caso di farmaci H, C e A-PHT non reperibili presso le farmacie aperte al pubblico.

In questo caso però il Presidio RMR non si deve limitare a rilasciare al paziente la scheda di terapia farmacologica, inviandolo alla ASST di Sua scelta, ma e' necessario che lo specialista del Presidio RMR coinvolga proattivamente l'ASST:

- ⇒ prenda contatti con la struttura sanitaria indicata (ASST) per il tramite della Direzione Sanitaria, per verificare la possibilità della continuità di cura presso tale sede e condividere le eventuali modalità di passaggio in cura del paziente al fine di ottimizzare l'eventuale trasferimento;
- ⇒ formuli parere favorevole e condivida con il paziente tutto quanto concordato con la ASST individuata;
- ⇒ informi adeguatamente il paziente sulle modalità specifiche di accesso a tutte le terapie prescritte.

La documentazione minima prodotta dal Presidio RMR a supporto della presa in carico da parte della ASST individuata è costituita da: attestato di esenzione per malattia rara, scheda di prescrizione dei farmaci redatta dallo specialista del Presidio RMR (rinnovata almeno annualmente) e parere favorevole di tale specialista con indicazione del referente contattato presso la struttura sanitaria di destinazione e dell'avvenuta condivisione con il paziente.

La continuità di cura presso ASST diversa dal Presidio RMR, limitatamente ai farmaci autorizzati, può quindi prevedere la sola dispensazione della terapia farmacologica domiciliare, con il coinvolgimento della U.O. Farmacia della ASST individuata, oppure la somministrazione della terapia presso la ASST erogatrice nel cui caso è necessario anche il coinvolgimento della specifica U.O. specialistica della ASST individuata.

E' inoltre opportuno che lo specialista del Presidio RMR chiarisca al paziente che, una volta effettuato il passaggio alla ASST individuata per un trattamento farmacologico, continuerà a riceverlo esclusivamente dalla ASST stessa e non più dal Presidio RMR.

Sono esclusi da tale procedura i farmaci Cnn, esteri, inseriti negli elenchi L.648/96 e sue estensioni e/o off-label, farmaci "ad uso compassionevole" per i quali, stante la responsabilità individuale del prescrittore, la prescrizione/erogazione rimarrà in carico al Presidio RMR, a cui il paziente continuerà a far riferimento.



**Per l'assistito lombardo in cura presso Presidio RMR non lombardo**, qualora quest'ultimo non provveda direttamente all'erogazione (rendicontandone i costi in mobilità extraregionale) o il paziente chieda di essere supportato per la continuità terapeutica da una struttura sanitaria lombarda, il percorso può essere garantito, a seconda della tipologia di farmaci, attraverso le seguenti modalità:

- ⇒ farmaci di classe A, A-PHT reperibili presso le farmacie aperte al pubblico, C e formulazioni galeniche esitabili dalle stesse purchè non soggetti a ricetta medica limitativa: tramite prescrizione su ricetta SSR in regime di esenzione (indicazione del codice della malattia rara) su ricetta cartacea RUR o dematerializzata da parte del MMG/PDF, sulla base del Piano Terapeutico redatto dallo specialista del Presidio RMR extraregionale.
- ⇒ farmaci di classe H, A-PHT e C non reperibili presso le farmacie aperte al pubblico: previo parere favorevole del prescrittore del Presidio RMR extraregionale, tramite l'U.O. competente o la Farmacia della ASST individuata, sulla base del Piano Terapeutico redatto dallo specialista del Presidio RMR extraregionale e rinnovato almeno annualmente.

Sono esclusi da tale procedura i farmaci esteri, inseriti negli elenchi L.648/96 e relative estensioni e/o off-label e farmaci ad uso compassionevole per i quali, stante la responsabilità individuale del prescrittore, la prescrizione/erogazione rimarrà in carico al Presidio RMR extra regione, a cui il paziente continuerà a far riferimento.

Esclusivamente nei casi in cui il Presidio RMR extraregione non fosse disponibile ad effettuare l'erogazione, l'ATS di residenza del paziente dovrà mettere il paziente in contatto con un Presidio RMR lombardo al fine di valutarne la presa in carico.

**Per l'assistito non lombardo seguito da Presidio RMR lombardo** la somministrazione dei farmaci utilizzabili esclusivamente in ambiente ospedaliero o in struttura ad esso assimilabile e la fornitura dei farmaci di classe A-PHT non reperibili nelle farmacie aperte al pubblico potranno essere garantite dal Presidio RMR prescrittore qualora il paziente riscontrasse difficoltà nel reperire la fornitura presso la propria ASL di residenza extraregionale.

In particolare il Presidio RMR lombardo potrà erogare farmaci "off label" (non riferiti a L.648/96) e farmaci classificati in C/Cnn, solo dopo aver ottenuto formale autorizzazione alla fornitura da parte della ASL di residenza del paziente extraregionale per la conseguente compensazione tra regioni.

Per facilitare il percorso del paziente riducendo il numero di accessi alla struttura di riferimento, Regione Lombardia deroga dai 60 giorni di copertura terapeutica previsti per la dispensazione e la rendicontazione in File F, secondo quanto a suo tempo disposto dalla DGR n° X/1185 del

20/12/2013, consentendo la copertura sino a 90 giorni di terapia, anche al fine di favorire la concomitanza della visita di controllo con la fornitura/erogazione della terapia.

Si presenta di seguito uno schema riassuntivo

TIPO DI MEDICINALE	ASSISTITO LOMBARDO IN CURA c/o PRESIDIO RMR LOMBARDO		ASSISTITO LOMBARDO IN CURA c/o PRESIDIO RMR EXTRA REGIONE		ASSISTITO NON LOMBARDO IN CURA c/o PRESIDIO RMR LOMBARDO
<b>FARMACI A, C, A-PHT (SE REPERIBILI IN FARMACIE APERTE AL PUBBLICO) E FORMULAZIONI GALENICHE <u>NON</u> IN REGIME L.648/96</b>	FARMACIE APERTE AL PUBBLICO tramite <u>RICETTA RUR/DEM</u> da PRESIDIO RMR/ MMG/ PDF		FARMACIE APERTE AL PUBBLICO tramite <u>RICETTA RUR/DEM</u> da MMG/ PDF		ASL EXTRAREGIONE SECONDO NORMATIVA DELLA REGIONE DELL'ASSISTITO
<b>FARMACI H e A-PHT, C NON REPERIBILI IN FARMACIE APERTE AL PUBBLICO</b>	PRESIDIO RMR	ASST (1)	PRESIDIO RMR EXTRA REGIONE	ASST (1)	ASL EXTRAREGIONE/ PRESIDIO RMR (per C, previa autorizzazione della ASL di residenza)
<b>FARMACI ESTERI FARMACI 648 (comprese preparazioni galeniche)</b>	PRESIDIO RMR		PRESIDIO RMR EXTRA REGIONE	PRESIDIO RMR (1)	ASL EXTRAREGIONE/ PRESIDIO RMR (per farmaci esteri, previa autorizzazione della ASL di residenza)
<b>FARMACI Cnn FARMACI OFF-LABEL</b>	PRESIDIO RMR		PRESIDIO RMR EXTRA REGIONE	PRESIDIO RMR (1)	ASL EXTRAREGIONE/ PRESIDIO RMR (previa autorizzazione della ASL di residenza)

(1) Previo rispetto delle condizioni riportate nel presente documento

## ACCESSO AI TRATTAMENTI NON FARMACOLOGICI

Si ricorda che, ai sensi degli artt. 13, 14 e 18 del DPCM 12.1.2017, rientra già nei LEA:

-l'erogazione di alimenti a fini medici speciali inclusi nel Registro nazionale istituito presso il Ministero della salute, ai sensi dell'art. 7 del D.M. 8.6.200, per le persone affette da malattie metaboliche congenite;

-l'erogazione dei presidi indicati nel nomenclatore di cui all'allegato 3 del citato DPCM agli assistiti affetti dalle malattie rare specificate nell'allegato medesimo;

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

In casi selezionati lo specialista del Presidio RMR può prescrivere l'impiego di trattamenti non farmacologici (dispositivi medici, integratori, prodotti destinati ad una alimentazione particolare o prodotti da banco) qualora gli stessi siano inclusi nei LEA o, se extra-LEA, nel PDTA condiviso a livello regionale. Nei casi extra-LEA in cui non sia disponibile un PDTA, gli eventuali approcci terapeutici non farmacologici dovranno essere esplicitati in protocolli dedicati per patologie omogenee definiti da specifici tavoli tecnici istituiti presso DG Welfare. Nelle more della loro definizione, eventuali richieste dovranno essere presentate alla Struttura Farmaco Dispositivi HTA che si esprimerà, sentito il Centro di Coordinamento. Nelle more dell'implementazione dei PDTA a cura della Rete Malattie Rare, il gruppo di lavoro afferente alla Struttura Farmaco, Dispositivi e HTA regionale predisporrà un elenco dei trattamenti integrativi concedibili, sulla base dell'analisi delle prescrizioni storiche, periodicamente aggiornato e disponibile sul sito della Rete Regionale Malattie Rare.

L'accesso a tali trattamenti è riservato ai soli assistiti residenti/domiciliati in regione Lombardia. Per i pazienti extraregione i Presidi di RMR lombardi potranno proporre il trattamento non farmacologico per una successiva valutazione ed eventuale presa in carico da parte della ASL di residenza del paziente extraregione.

Per la **prescrizione** dei trattamenti non farmacologici, lo specialista di Presidio RMR deve utilizzare la già citata scheda per la prescrizione di farmaci, disponibile nel sistema web-based denominato RMR (Rete Malattie Rare) che opera nel circuito CRS-SISS, compilando il campo "note": il paziente deve essere inviato al servizio Protesica/Integrativa (ex distretto) della ASST di residenza che provvederà a prendere in carico la prescrizione.

L'erogazione di trattamenti non farmacologici per gli assistiti del SSR Lombardo (iscritti al NAR - anagrafe assistiti di Regione Lombardia) può avvenire direttamente da parte dell'ASST di

residenza del paziente o per il tramite delle farmacie aperte al pubblico (sistema web care) nel caso di accordi gestiti dalle ATS.

La **rendicontazione** dei trattamenti erogati direttamente dalle ASST deve essere inserita nel flusso di competenza (Protesica Minore, Protesica Maggiore, Diabetica, Dietetica). La rendicontazione dei trattamenti distribuiti in convenzione con le farmacie aperte al pubblico o autorizzati direttamente dall'ATS competente, entra automaticamente a far parte del flusso DCR-FUR trasmesso mensilmente dalle Farmacie.

## **RUOLO DELLA ATS TERRITORIALMENTE COMPETENTE**

A seguito all'applicazione della Legge Regionale n. 23/2015 alle ATS vengono assegnati ruoli di monitoraggio e controllo sulle forniture erogate a pazienti lombardi.

L'ATS di riferimento potrà anche valutare, di concerto con DG Welfare, al fine di uniformare le procedure per le ASST afferenti, l'eventuale aggiornamento dei prodotti non farmacologici distribuiti attraverso le farmacie aperte al pubblico concedendone la fornitura tramite ricetta SSR.

Infine le ATS dovranno svolgere un ruolo di coordinamento a supporto dei pazienti lombardi in trattamento presso un presidio RMR extra regionale.

## MODULO RICHIESTA FARMACO OFF-LABEL PER MALATTIA RARA

Richiesta di valutazione da inviare a cura del Servizio Farmaceutico del Presidio RMR  
al Centro di Coordinamento Regionale Malattie Rare  
Riservato ai soli farmaci off-label NON presenti nel PDTA regionale

FARMACO/SPECIALITA'	
PRESIDIO RMR	
INIZIALI DEL PAZIENTE	
DATA DI NASCITA	
ATS	
CODICE MALATTIA RARA	
INDICAZIONE	
MEDICO RICHIEDENTE	
DATA	
COSTI	

### 1. Si riscontra assenza di alternative terapeutiche?

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

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

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

- \_\_\_\_\_
- \_\_\_\_\_

### 3. Evidenze cliniche riscontrate dagli studi presentati

REFERENZA STUDIO CLINICO FASE	NUMERO PAZIENTI	TRATTAMENTI/ OUTCOME PRIMARIO	RISULTATI

### 4. Beneficio atteso dal Prescrittore

\_\_\_\_\_  
\_\_\_\_\_

### 5. Eventuali note/conclusioni

\_\_\_\_\_  
\_\_\_\_\_

Il Farmacista Referente

Il Direttore di Farmacia

\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_