



Ricerca e Assistenza nella Pediatria che cambia:
la prescrizione off – label
Il punto di vista dell'Associazione dei Pazienti

Trieste, 14 Novembre 2017

Tommasina Iorno

UNIAMO F.I.M.R. Onlus in breve

- Fondata nel 1999
- Circa 107 associazioni affiliate
- Più di 600 malattie rare rappresentate
- 2 persone in forza lavoro, 4 collaboratori, 9 volontari
- 7 consiglieri nel direttivo
- Membro del Consiglio Drettivo di EURORDIS
- Componente del Consiglio delle Alleanze (CNA) di Eurordis



MISSION

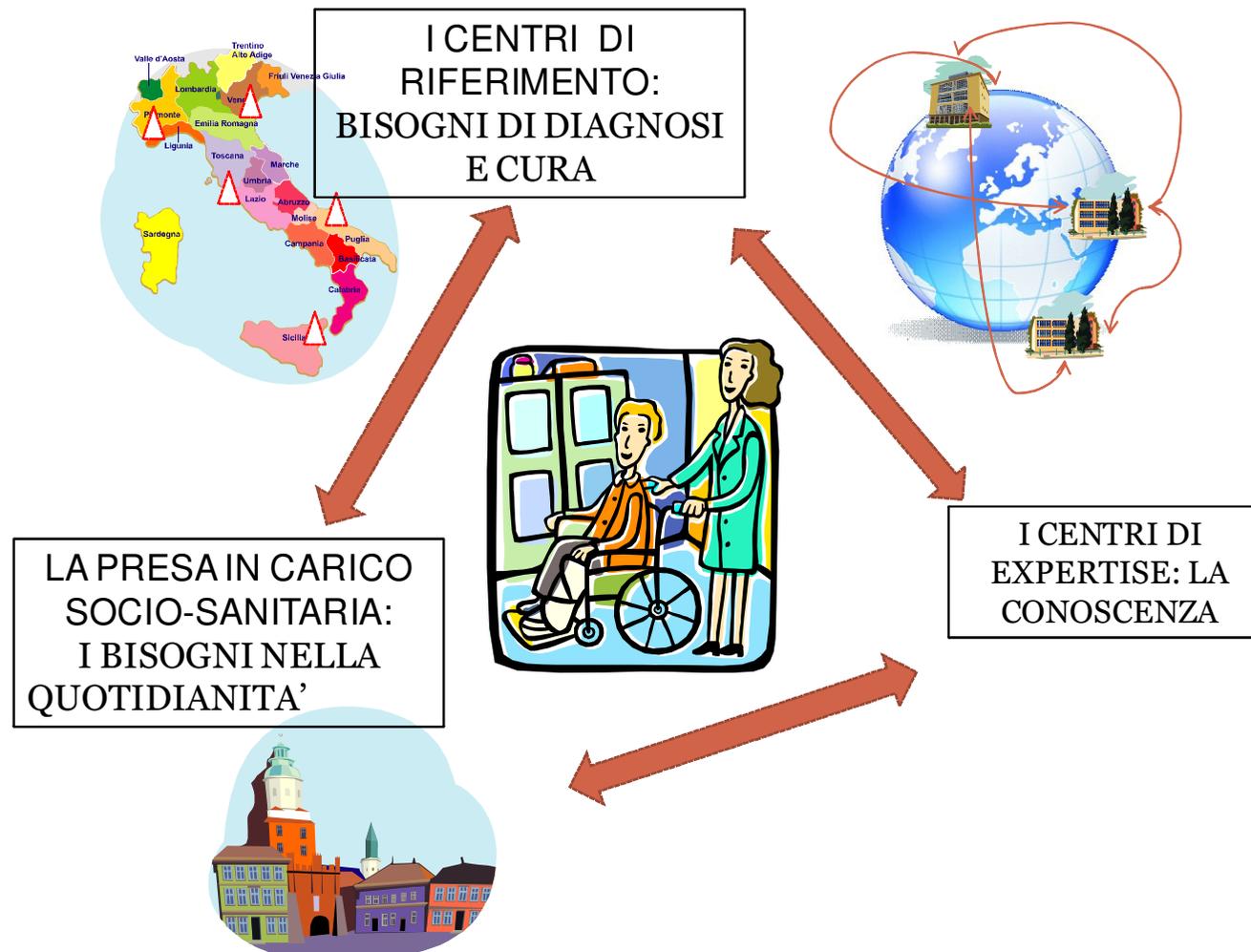
**Migliorare la qualità della vita delle
persone colpite da malattia rara,
attraverso l'attivazione,
la promozione
e la tutela dei diritti vitali dei malati rari
nella ricerca,
nella bioetica,
nella salute,
nelle politiche sanitarie
e socio-sanitarie**

BISOGNI

- Diagnosi: veloce e tempestiva;
- Presa in carico globale in continuo aggiornamento rispetto alla velocità della ricerca;
- Accessibilità alla cura appropriata ed equa uniforme a tutti i malati rari e su tutto il territorio nazionale;
- Transizione età pediatrica età adulta;
- Inclusione sociale;
- Inclusione lavorativa e dignità della persona.

IL MODELLO DI ASSISTENZA MULTIDIMENSIONALE

NON SOLO ASPETTATIVE... MA SFIDA DEL SISTEMA!!!



MALATTIE RARE E FARMACI ORFANI

**MEDICINALI IN POSSESSO DELLA
QUALIFICA DI ORFANO AI SENSI DEL
REGOLAMENTO (CE) N. 141/2000**

**L. 135/2012 ART. 15 c. 8 lett. i
L. 147/2013 ART. 1 c. 228**

MALATTIE RARE – FARMACI OFF LABEL

- ❖ IN ITALIA L. 648/96 – EROGAZIONE FARMACI OFF LABEL A CARICO DEL SSN
- ❖ CONSENTE, DI EROGARE FARMACI QUANDO NON VI E' ALTERNATIVA TERAPEUTICA, TRE CATEGORIE:
 - ❖ INNOVATIVI IN COMMERCIO IN ALTRI STATI
 - ❖ NON ANCORA AUTORIZZATI MA SOTTOPOSTI A SPERIMENTAZIONE CLINICA
 - ❖ DA IMPIEGARE PER UNA INDICAZIONE TERAPEUTICA DIVERSA
- ❖ ELENCO PUBBLICATO DA AIFA INTEGRATO PERIODICAMENTE

MALATTIE RARE – FARMACI OFF LABEL ELENCHI

- ❖ ALTRI ELENCHI
 - ❖ TUMORI SOLIDI DELL'ADULTO
 - ❖ TUMORI PEDIATRICI
 - ❖ TRATTAMENTO DELLE NEOPLASIE
 - ❖ ECC.

- ❖ E' STATO CHIESTO ANALOGAMENTE ALL'ONCOLOGIA DI METTERE NELLA L. 648 UN ELENCO SPECIFICO PER LE MALATTIE RARE.
 - ❖ RILEVANTE PER USI SISTEMATICI FREQUENTI NELLE MR
 - ❖ NON INNOVATIVO MA DI USI GIA' CONSOLIDATI E NON CHIESTA AIC SPECIFICA (USO SISTEMICO E' UN DANNO ERARIALE)
 - ❖ L'ELENCO SPECIFICO PER FARMACI EZIOLOGICI E SINTOMATICI PER LE MR OVVIEREBBE ALL'INCONVENIENTE E COMPORTEREBBE UNA FACILITA' DI AGGIORNAMENTO.

MALATTIE RARE – FARMACI IN FASCIA C

- ❖ ALTRI FARMACI IN IMPIEGO OFF LABEL PER MR SONO IN FASCIA C (RICOMPRESI NELLA LEGISLAZIONE NAZIONALE)
 - ❖ SOMMINISTRATI ATTRAVERSO PROTOCOLLI CONCORDATI E OGGETTO DI DELIBERE.
 - ❖ L'USO APPROPRIATO E CONCORDATO DIVENTA UN DIRITTO ESIGIBILE PER IL PAZIENTE.
 - ❖ I PROTOCOLLI INCLUDONO:
 - ❖ MEDICINALI A PAGAMENTO DEL PAZIENTE (FASCIA C)
 - ❖ MEDICINALI IN COMMERCIO ALL'ESTERO
 - ❖ PREPARAZIONE GALENICHE NON DISPONIBILI NEL DOSAGGIO E NELLA FORMULAZIONE NECESSARI,
 - ❖ TRATTAMENTI NON FARMACOLOGICI: PARAFARMACI, DISPOSITIVI MEDICI, ECC. INDISPENSABILI PER LE MR E COMPLICANZE

MALATTIE RARE – L.94/98

❖ LEGGE DI BELLA

❖ UN ULTERIORE LIVELLO DI EROGAZIONE DI FARMACI CON USO OFF-LABEL LEGATO A SPECIFICHE ESIGENZE INDIVIDUALI. LA PRESCRIZIONE MOTIVATA E' A CURA DEI CENTRI DI COMPETENZA/EXPERTISE RESPONSABILI ANCHE DEL FOLLOW-UP DEL PAZIENTE IN COLLEGAMENTO CON I SERVIZI TERRITORIALI.

MALATTIE RARE – REGISTRI

TUTTO QUESTO E' POSSIBILE CON DEGLI OTTIMI STRUMENTI DI REGISTRAZIONE!

Aspetti chiave messi in evidenza:

- Organizzare i registri “per patologia” e non per “farmaco o trattamento”
- Costruire *partnership* tra pubblico e privato per garantire sviluppo e sostenibilità
- I dati devono poter essere condivisi secondo la logica di *Open Access*



- ◆ PERSONE CON MALATTIE GENETICHE/FAMILIARI
- ◆ ASSOCIAZIONI
- ◆ CLINICI & RICERCATORI
- ◆ ISTITUZIONI/ENTI REGOLATORI
- ◆ INDUSTRIA

TAVOLO ISTITUZIONALE IN PROGRESS

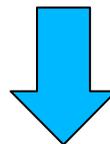


*Presidenza
del Consiglio dei Ministri*

CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME
DI TRENTO E BOLZANO

Accordo, ai sensi dell'articolo 4 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, tra il Governo, le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano sul riconoscimento di Centri di coordinamento regionali e/o interregionali, di Presidi assistenziali sovraregionali per patologie a bassa prevalenza e sull'attivazione dei registri regionali ed interregionali delle malattie rare.

Rep. n. 103/CS del 10 maggio 2007



- sull'attivazione di un Tavolo, cui partecipa il Ministero della salute, l'AIFA e le Regioni, volto a definire le problematiche connesse all'erogazione dei farmaci orfani ai pazienti in trattamento e segnalati al Registro nazionale con le modalità sopra descritte;

PAZIENTI STAKEHOLDER

A LIVELLO EUROPEO Vi è un crescente numero di prove che dimostrano che I PAZIENTI (stakeholder) partecipano a tutti i punti di decisione del ciclo di vita dei medicinali in grado di offrire una migliore innovazione e un'efficienza dei processi, ciò richiede una comprensione reciproca tra pazienti e altri soggetti interessati alla sanità, rendendo i processi più pertinenti ai singoli pazienti, gruppi di pazienti, ai consumatori e alla collettività in generale.

PAZIENTI – SINDROME AICARDI GOUTIERES

MARZO 2010

MEXITIL - LA STORIA DI UN FARMACO:

- ❖ In Italia la Boehringer Ingelheim arresta la produzione e non rinnova l'AIC
- ❖ Unico produttore – scomparsa del farmaco
- ❖ E' un antiaritmico in declino e secondo l'azienda esistono alternative
- ❖ Nessuna analisi viene effettuata sulle conseguenze per i pazienti miotonici
- ❖ Presenza sul mercato internazionale incostante e a costi molto alti
- ❖ Richiesta di produzione allo Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare 10/2010
- ❖ SCFM comincia le ricerche fra i produttori per reperire la mexiletina
- ❖ Individuato 07/2010
- ❖ SCFM comincia i test di produzione e comunica il 14/09/2010 di essere in grado di fornire il farmaco in capsule da 200 mg.

INSEGNAMENTI

COSA ABBIAMO IMPARATO

- ❖ L'uso dei farmaci fuori indicazione pone a maggior rischio di scomparsa dal mercato
- ❖ **Ciò che è disponibile oggi non certo lo sia domani**
- ❖ Molta attenzione su farmaci orfani, dobbiamo porne altrettanta per tutelare ciò che abbiamo già disponibile.
- ❖ Prepararsi a gestire improvvise carenze
- ❖ C'è bisogno di una legislazione apposita.
- ❖ Il diritto dei pazienti alla terapia non è tutelato e lo SCFM non può produrre tutti i tipi di farmaci

ESPERIENZA PAZIENTI - TALASSEMIA

USO OFF LABEL DI DUE FARMACI COMBINATI DETERMINA 17 MARZO 2014

- ❖ ... La combinazione di Deferoxamina-Deferiprone consentita solo in pazienti con grave compromissione cardiaca, a totale carico del SSN;
- ❖ Limitazione dell'uso solo per pazienti con compromissione cardiaca;
- ❖ Dosaggio entrambi come se fossero in monosomministrazione (DFP 50-100 mg/Kg + DFO 30 – 50 mg/kg)

OPEN AIFA

MOTIVI

- a) La determina dell'AIFA non è stata accompagnata da una idonea opera di informazione rivolta ai pazienti né una preventiva consultazione con i pazienti stessi;
- b) I termini per l'utilizzo della combinazione, così come dettagliati nell'allegato alla determina stessa non risultano corrispondere all'esperienza corrente di alcuni dei principali centri di riferimento per la terapia della talassemia in Italia
- c) C'è il rischio di discriminare tra pazienti che risulteranno coperti dalla decisione dell'AIFA ed altri che continueranno ad usare la terapia con modalità 'off-label';
- d) La previsione contenuta nella determina di 'registrare' le somministrazioni e i conseguenti effetti, inclusi gli eventi avversi, non è corroborata da alcuna indicazione pratica e/o di copertura degli oneri conseguenti all'effettivo conseguimento di tale risultato.

RICHIESTA

Chiedere alla Commissione Tecnico-scientifica di AIFA di rivedere i contenuti tecnici e le disposizioni della DETERMINA 17 marzo 2014 sulla base delle considerazioni scientifiche qui presentate.

In consultazione con i pazienti predisporre e disseminare una campagna di informazione/educazione all'uso appropriato della terapia combinata e dei chelanti in generale basato su evidenze scientifiche e necessità terapeutiche dei pazienti

Monitorare gli effetti della terapia combinata e delle altre terapie chelanti.

RISULTATO

Il procedimento di inserimento dell'associazione nelle liste di cui alla l. 648/96 e' stato sospeso

NORMATIVA

L. 648/1996 del 23/12 (Misure per il contenimento della spesa farmaceutica e la rideterminazione del tetto di spesa per l'anno 1996)	L. 94/98 del 08/04 (Sperimentazioni cliniche in campo oncologico)	DM 8 maggio 2003 (Uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica)	L. 326/03 del 24/11 (Per favorire lo sviluppo e per la correzione dell'andamento dei conti pubblici)	L. Fin. 2007 – art.1 c. 796 lettera z, L. 296/2006	L. Fin. 2008 art. 2 c. 348 L. 244/2007	L. 79 del 16/05/2014 Art 3 Disposizioni urgenti in materia di disciplina degli stupefacenti e sostanze psicotrope, prevenzione, cura e riabilitazione dei relativi stati di tossicodipendenza di cui al decreto del Presidente R. 9/10/1990 n. 309, nonché di impiego di medicinali meno onerosi da parte del SSN	DM 7 settembre 2007 Disciplina dell'uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica
OFF LABEL	OFF LABEL			OFF LABEL		OFF LABEL	OFF L - COMPASSION

EARLY ACCESS!!!!

ACCESSIBILITA' ALLA CURA VALORE DEL PAZIENTE

**IL PAZIENTE ESPERTO E'
COLUI CHE
CONSAPEVOLMENTE
RIESCE A ESTRARRE
DALLA PROPRIA ESPERIENZA DI SALUTE
UN "VALORE" DI CONOSCENZA
UTILE
PER L'ORIENTAMENTO DELLE SCELTE DECISIONALI
ED ORGANIZZATIVE
SIA IN AMBITO DI ASSISTENZA,
SIA DI RICERCA
E SIA DI RESPONSABILITA' SOCIALE**

FORMAZIONE DEL PAZIENTE



 Autunno BASE	aspetti teorico-storici del costrutto di empowerment, comunità Malattia Rara, proprio ruolo, associazionismo, gestionale e amministrativo e conseguente policy
 Inverno INTERMEDIO	essere parte della comunità, tecniche innovative del Terzo Settore, delibere, rendiconto, bilancio sociale, diritti esigibili, accessibilità al farmaco, linguaggio "modello ideale di assistenza"
 Primavera Avanzato	Approfondimento "modello ideale di assistenza", modello qualità, Conferenza Stato/Regioni, legge 279, presa in carico PDT, PDTA, piani terapeutici nazionali e internazionali
 Estate Propedeutico al Master e/o all'Accademia	HTA Health Technology Assessment, E.R.N European Reference Network, Regolamento Europeo sulla sperimentazione clinica, comitati etici, consenso informato, biobanche, screening neonatale, qualità

EMPOWERMENT

Ognuno noi deve sentirsi “parte attiva del sistema” e deve fare sistema!

Un sistema che si sviluppa con obiettivi, che si attivano con azioni grazie al processo di

EMPOWERMENT

un processo di azione sociale attraverso il quale le persone, le organizzazioni e la comunità acquisiscono competenza sulle proprie vite al fine di cambiare il proprio ambiente sociale e politico per migliorare l'equità e la qualità di vita!

GRAZIE