- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.150.163 Mon, 29 Apr 2024, 18:34:26

MALATTIE RARE

[P:431]
L'ACCESSO AL FONDO AIFA 5% COME STRUMENTO A SUPPORTO DELLA SOSTENIBILITÀ IN UNA GESTIONE CLINICA CONDIVISA

Matilde Scaldaferri, Giulia Valinotti, Eleonora Castellana, Paola Crosasso, Maria Rachele Chiappetta, Francesco Cattel
AOU Città Della Salute E Della Scienza Di Torino, Torino

Introduzione. Il fondo AIFA 5% rappresenta un fondo nazionale istituito con la Legge n. 326 del 2003 per l'impiego, a carico SSN, di farmaci orfani per il trattamento di malattie rare e di farmaci che rappresentano una speranza di cura, in attesa della commercializzazione, per particolari e gravi patologie. La normativa di riferimento è rappresentata dalla Legge n. 326 del 2003, G.U. n. 274 del 25 novembre 2003.
Materiali/metodi. L'individuazione dei casi clinici che potrebbero accedere al Fondo AIFA 5% avviene attraverso la segnalazione diretta del medico oppure attraverso la valutazione del farmacista durante la discussione dei casi durante i GIC o a seguito di segnalazione di impiego off label alla Commissione Farmaceutica Interna. La SC Farmacia ha redatto un'apposita procedura ufficiale che prevede essenzialmente: - richiesta ad AIFA ed ottenimento dell'autorizzazione; - gestione ordini e rimborso da parte della farmacia; - riaccredito del rimborso sul conto economico della farmacia e resoconto di giustificativi di spesa ai singoli dipartimenti interessati.
Risultati. Da luglio 2017 a giugno 2018 sono stati individuati come eleggibili per la richiesta di accesso 34 casi clinici; al momento sono state ottenute 20 autorizzazioni, mentre 9 casi sono ancora in valutazione, e 5 in fase di compilazione da parte del clinico. I casi relativi a malattie rare riportate in G.U. n. 65 del 18/03/2017 sono tredici (glomerulonefrite membrano proliferativa, ipoparatiroidismo autoimmune, linfoma periferico a cellule T, arterite gigantocellulare). Quattordici richieste provengono dall'area nefrologica (eculizumab - glomerulonefrite membranoproliferativa, tocilizumab - rigetto cronico anticorpo-mediato), mentre 8 casi appartengono all'area ematologica (belinostat – PTCL-U, ibrutinib e ruxolitinib – GVHD, venetoclax + 5-azacitidina – leucemia mieloide acuta (LAM), sorafenib – LAM FLT3+, peg-interferone – trombocitemia essenziale, pembrolizumab – linfoma del mediastino, bortezomib – mantenimento post trapianto in mieloma multiplo ad alto rischio). I restanti casi sono di pertinenza dell'area oncologica, oncologica pediatrica ed endocrinologica. L'eleggibilità alla richiesta di accesso al fondo è stata individuata e proposta dal farmacista in 18/34 casi. L'importo totale al momento autorizzato è di: € 1.133.131,69 € , di cui € 309.070,88 già riaccreditati sul conto della farmacia.
Conclusione. I risultati ottenuti dimostrano come l'attività del farmacista all'interno dei GIC e nella segreteria scientifica della Commissione Farmaceutica Interna consenta di ottenere un'ottima integrazione tra l'appropriatezza prescrittiva nel caso di patologie rare o ad alta complessità e la sostenibilità economica attraverso l'accesso al Fondo 5%.
Bibliografia. Legge n. 326 del 2003, G.U. n. 274 25 novembre 2003.

[P:432]
FIBROSI POLMONARE IDIOPATICA: ESPERIENZA CLINICA IN REAL LIFE CON PIRFENIDONE, IL RUOLO DEL FARMACISTA IN SINERGIA CON IL CLINICO

Rita Valentina Polizzi, Annachiara Cericola, Maria Grazia Covesnon
ASL 3 Genovese, Genova

Introduzione. La fibrosi polmonare idiopatica (IPF) è una malattia rara progressiva ed irreversibile ad esito infausto con una sopravvivenza media alla diagnosi di 3 anni e una prognosi peggiore rispetto a quella di numerosi tumori. È una malattia che toglie letteralmente il fiato ed è caratterizzata dalla formazione di tessuto fibrotico-cicatriziale nel polmone con conseguente declino della sua funzionalità. Il nostro studio è stato quello di valutare la risposta clinica ad uno dei due farmaci approvati in terapia, in particolare il pirfenidone, prima speranza per questi pazienti, disponibile in Italia dal 2013.
Materiali/metodi. Grazie alla collaborazione con l'Ambulatorio Fibrosi e Malattie Polmonari Rare, è stato possibile determinare la risposta clinica al pirfenidone attraverso l'analisi del registro AIFA, in particolare delle schede di eleggibilità e delle rivalutazioni semestrali, in termini di declino della capacità vitale forzata (FVC). Tali dati sono stati condivisi tra clinico e farmacista, non solo per la rivalutazione obbligatoria dopo i primi 6 mesi di trattamento, ma anche per le successive rivalutazioni che possono non essere inserite nel registro AIFA.
Risultati. Da luglio 2013 a Dicembre 2016 sono stati inseriti nel registro AIFA 24 pazienti affetti da IPF con un'età media di 72 anni, l'87% è di sesso maschile. Dei 24 pazienti il 70,8% è ancora in trattamento, emerge un tasso di droup-out del 29,2% dovuto in alcuni casi a tossicità e in altri a decesso per progressione. Dai dati completi disponibili su 14 pazienti trattati con pirfenidone, si evince che il declino della FVC è stato ridotto mediamente nell'86% nelle rivalutazioni a 6 mesi e nell'82% a 12 mesi.
Conclusione. I dati si riferiscono ai pazienti afferenti al nostro centro, per cui per raggiungere la significatività statistica sarebbe auspicabile una collaborazione ed un'estensione dello studio ad altri centri. Questo lavoro è stato possibile grazie alla costante condivisione tra clinico e farmacista ospedaliero dei dati relativi alle rivalutazioni, ciò ha permesso di ottimizzare la gestione del registro AIFA e di instaurare un dialogo sull'andamento della terapia, nell'ottica di una migliore gestione dell'assistenza al paziente, avendo come fine l'efficacia delle cure e l'uso appropriato e sicuro dei farmaci.
Bibliografia. An Official ATS/ERS/JRS/ALAT Statement. Idiopathic pulmonary fibrosis: evidence-based guidelines for diagnosis and management. Am J Crit Care Med 2011;183:788-824.

[P:433]
IL MORBO DI GAUCHER: TRATTAMENTO CON ELIGLUSTAT, PRIME VALUTAZIONI

Giuliano Polichetti, Cinzia Anna Pennetta
Azienda ASL BR - P.O.Ostuni, Brindisi

Introduzione. Il morbo di Gaucher (MG) è una malattia genetica rara dovuta alla carenza e al ridotto funzionamento di un enzima contenuto nei lisosomi dei macrofagi (glucocerebrosidasi). Enzima adibito alla trasformazione del glucocerebroside, derivante dalle cellule degradate, in zuccheri e grassi riutilizzabili. Il glucocerebroside si accumula nei lisosomi dei macrofagi aumentandone le dimensioni con un tropismo per milza, fegato e midollo osseo, alterandone le normali funzioni. Esistono tre tipologie di MG le cui manifestazioni cliniche influiscono negativamente sulla qualità di vita. Il tipo 1 è il più diffuso rappresentando il 95% dei casi, con un'incidenza di 1/60000. Fino a qualche mese fa era disponibile sul mercato solo l'imuglucerasi e.v. a somministrazione bimensile ospedaliera (Cerezyme®), recentemente si è aggiunta la terapia orale con eliglustat (Cerdelga®), una compressa da assumersi bis in die. Il nostro studio è teso a valutare il costo della terapia orale rispetto a quella endovenosa, la compliance e la spesa per singolo paziente.
Materiali/metodi. Le ricerche bibliografiche sono state effettuate su Pubmed, Web of Science, Google Scholar; ulteriori elaborazioni sono state condotte utilizzando il software di gestione del magazzino GPI ed il sistema Informativo Sanitario Regionale Edotto.
Risultati. I farmaci raggiungono lo stesso target ma con meccanismi d'azione diversi, il Cerezyme® supplisce l'attività dell'enzima mancante mentre il Cerdelga® riduce la sintesi dei substrati a monte della glucocerebrosidasi. Il nostro distretto conta una popolazione di circa 32000 abitanti, e contempla due casi di MG. La situazione epidemiologica locale è quindi caratterizzata da una altissima incidenza di MG, 4 volte superiore rispetto ai valori nazionali. Entrambi sono passati dal Cerezyme® (costo annuale circa €245500/pz più il costo degli accessi ospedalieri) al Cerdelga® (costo annuale circa €193560/pz). Il passaggio di terapia ha influito favorevolmente sulla compliance azzerando gli accessi ospedalieri.
Conclusione. In conclusione possiamo dire che per i pazienti affetti da MG di tipo I il passaggio dalla terapia infusionale a quella orale conviene sia sotto l'aspetto economico, sia sotto l'aspetto del miglioramento della qualità della vita dei pazienti, assimilati a pazienti cronici "normali". La presenza di ben due pazienti con MG nel nostro distretto con inevitabili ricadute di tipo economico impone le giuste valutazioni in fase di assegnazione del budget.

[P:434]
MALATTIA DI GAUCHER, TERAPIA ORALE O INFUSIONALE? ASPETTI ECONOMICI E COMPLIANCE DEL PAZIENTE

Giuliano Polichetti [1], Emanuela Peluso [2], Leonardo Gianluca Lacerenza [3]
[1] Azienda Usl Brindisi - P.O.Ostuni, Brindisi
[2] Azienda Toscana usl centro, Firenze
[3] Azienda Toscana usl sud est, Grosseto

Introduzione. La malattia di Gaucher (MG) è una malattia rara causata dalla carenza e dal ridotto funzionamento dell'enzima

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.150.163 Mon, 29 Apr 2024, 18:34:26

glucocerebrosidasi contenuto nei lisosomi dei macrofagi. Questo enzima ha il compito di trasformare il glucocerebroside, sostanza derivante dalle cellule degradate, in zuccheri e grassi riutilizzabili. Il glucocerebroside si accumula nei lisosomi dei macrofagi aumentandone le dimensioni (Cellule di Gaucher) concentrandosi soprattutto nella milza, nel fegato e nel midollo osseo, alterandone le normali funzioni. Esistono tre tipologie di MG: Tipo 1, nessun interessamento neurologico e sintomatologia meno grave; Tipo 2, interessamento neurologico; Tipo 3, dall'insorgenza tardiva e sintomi neurologici. Le manifestazioni cliniche della MG influiscono negativamente sulla qualità di vita. Il tipo 1 è il più diffuso rappresentando il 95% dei casi, con un'incidenza di 1/60000, in Italia dovrebbero esserci circa 1000 casi. Fino a qualche mese fa era disponibile solo una terapia per infusione endovenosa bimestrale (Cerezyme®) da effettuarsi in ambiente Ospedaliero, recentemente si è aggiunta una terapia orale (Cerdelga®), una compressa da assumersi bis in die. Lo studio cerca di valutare il costo della terapia orale rispetto a quella endovenosa e la compliance del paziente.

Materiali/metodi. È stata fatta una ricerca dei dati presenti in letteratura utilizzando i principali database (Pubmed, Web of Science, Google Scholar), incrociando diverse parole chiave sia in italiano che in inglese ed ulteriori elaborazioni per calcolare i costi.

Risultati. I due farmaci raggiungono lo stesso risultato con meccanismi d'azione diversi, il Cerezyme® sostituisce l'attività dell'enzima mancante, il Cerdelga® invece riduce la sintesi dei substrati a monte dell'enzima mancante. Un paziente in cura con Cerezyme® utilizza in media circa 14 fiale mensili per un costo approssimativo di 20.460 euro più il costo di due accessi ospedalieri. Un paziente che riceve Cerdelga® ha un costo netto senza aggiunta di ricoveri di circa 16.130 euro al mese. I costi non sono sovrapponibili e inoltre per il Cerezyme® bisogna aggiungere il costo degli accessi ospedalieri, mentre per il Cerdelga® oltre ad un risparmio economico diretto vi è anche una netta compliance del paziente che smette di sentirsi un malato "particolare" dal momento che può curarsi semplicemente prendendo due compresse al giorno.

Conclusione. Un paziente con MG tipo I costerebbe con il Cerezyme circa 245.520 euro l'anno più i costi di accesso in ospedale, mentre con il Cerdelga® costerebbe circa 193560 euro senz'altri costi e con enorme compliance da parte del paziente che tornerebbe ad una vita normale.

[P:435]

REGISTRI AIFA E POLINEUROPATIA DEMIELINIZZANTE INFIAMMATORIA CRONICA (CIDP): UNA FONTE DI APPROFONDIMENTO DELLE CONOSCENZE SU UNA MALATTIA RARA A VANTAGGIO DEI PAZIENTI E DELLA GOVERNANCE CLINICA

Barbara Pisano, Maria Luisa Aiezza, Lucia Avallone, Bernardo Maria De Martino, Angela Gallo, Gaspare Guglielmi, Francesco Habetswallner, Daniela Iovine, Paola Saturnino, Eugenia Piscitelli
AORN A Cardarelli, Napoli

Introduzione. La CIDP è una malattia rara immunomediata sensitivo-motoria, cronica, caratterizzata da debolezza muscolare, perdita di sensibilità, assenza/diminuzione dei riflessi tendinei, aumento di proteine nel liquido cerebrospinale. Ha esordio insidioso e può peggiorare lentamente o seguire un decorso di recidive/recupero. CIDP è sotto-diagnosticata e sotto-trattata: la prevalenza è difficile da stabilire, ma si stimano 8 casi ogni 100.000 adulti. Diagnosi e trattamento precoci prevengono la disabilità e migliorano il recupero funzionale. La terapia prevede cortisonici, immunoglobuline (IG) per via endovenosa o plasmaferesi a seconda del quadro clinico e della gravità. Da tempo sono in uso immunoglobuline s.c., ai sensi della legge 648/96, che rispetto alla formulazione e.v. presentano il vantaggio di minori effetti collaterali e dell'uso domiciliare. La nostra AORN è uno degli 11 Presidi di Riferimento Regionale per le Malattie Rare: in particolare l'UOC di Neurofisiopatologia è riconosciuta dalla Regione Campania quale centro per la certificazione e la cura di patologie neuro-muscolari rare, tra cui la CIDP. Si è pertanto ritenuto interessante valutare lo stato della terapia immunoglobulinica per ricavare informazioni utili alla sua gestione.

Materiali/metodi. Si è effettuata una ricognizione del contesto normativo sull'uso delle IG e delle evidenze disponibili in letteratura su efficacia e sicurezza. È stata condotta un'analisi dei pazienti trattati con IG endovena mediante consultazione dei Registri AIFA e confronto con i dati regionali, e dei trattamenti con IG sottocute tramite le richieste dei medici prescrittori.

Risultati. I Registri AIFA hanno consentito la stima dei pazienti ed il reperimento di informazioni cliniche: ad oggi risultano registrati 23 pazienti, quota significativa se confrontata con il report regionale Registri 2013-2016 dove per le tre formulazioni ev sono presenti 121 trattamenti totali, di cui 86 maschi e 35 femmine, di età media rispettivamente di 56 e 50 anni. È stato elaborato un report sull'andamento delle terapie e sulla loro evoluzione, ed un'analisi dei costi e dell'impatto dei trattamenti, da poter utilizzare per valutazioni di natura gestionale e nella stesura di linee guida.

Conclusione. Le informazioni riguardanti le malattie rare sono spesso di difficile reperimento e possono mancare valutazioni di natura clinica ed economica necessarie alla governance del farmaco. La nostra attività sui Registri AIFA e la presenza di un Centro di Riferimento Regionale hanno consentito una proficua collaborazione con i Medici per l'approfondimento di tali valutazioni riguardanti i trattamenti della CIDP con IG, finalizzate al miglioramento della compliance del paziente e a favorire l'organica gestione dei trattamenti della CIDP con IG.

[P:436]

IMPLEMENTAZIONE DI UN NUOVO STRUMENTO REGIONALE DI GOVERNANCE DEI FARMACI AD ALTO COSTO PER IL TRATTAMENTO DI MALATTIE RARE

Margherita Andretta [1], Anna Michela Menti [1],
Sara Nocera [1], Giovanna Scroccaro [2]
[1] UOC HTA - Azienda Zero, Regione del Veneto, Padova
[2] Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi Medici, Regione del Veneto, Venezia

Introduzione. La maggior disponibilità di farmaci ha aumentato l'aspettativa e la qualità di vita dei malati con patologia rara. I costi di tali terapie, spesso croniche, è estremamente elevato. La mancanza di finanziamenti ad hoc e, in alcuni casi, anche solo di Registri di monitoraggio dell'appropriatezza d'uso rende necessario individuare a livello regionale specifiche strategie di governance per la sostenibilità dei farmaci orfani.

Materiali/metodi. (i) Censimento dei farmaci orfani per patologia rara esente, rimborsati in Italia al 31.01.2018, con e senza Registro AIFA, suddivisi per area terapeutica. (ii) Identificazione dei farmaci e delle relative aree terapeutiche a maggior impatto di spesa regionale per cui non è prevista la compilazione del Registro AIFA. (iii) Implementazione di una scheda di monitoraggio per farmaci ad alto costo non soggetti a Registro.

Risultati. (i)Sono stati identificati 75 farmaci per patologia rara con codice d'esenzione, di cui solo il 22,6% con Registro AIFA. (ii) Tra le aree terapeutiche identificate, quella relativa al trattamento delle malattie da accumulo lisosomiale rappresenta una tra le maggiori per impatto di spesa. Le terapie enzimatiche sostitutive (ERT) e quelle di riduzione del substrato (SRT) hanno generato nel 2017 una spesa di circa 19,6 milioni di €. La spesa per ERT è stata di 18,6 milioni di €, di cui solo il 16% attribuibile a farmaci con Registro AIFA, mentre la spesa per SRT è stata di 928 mila €, determinata totalmente da farmaci senza Registro. L'analisi dei dati di spesa di ERT/SRT per il 2017 ha permesso di stimare che circa l'85% della spesa sostenuta per il trattamento delle malattie da accumulo lisosomiale non è governata dalla presenza di Registro. (iii) Gruppi di esperti regionali, supportati dall'Unità regionale di HTA, definiranno per i farmaci ad alto costo sprovvisti di Registro, un modello di scheda che preveda dei criteri di eleggibilità, sulla base delle indicazioni terapeutiche e delle condizioni di rimborsabilità, e delle schede di monitoraggio, vincolanti ai fini della erogazione del farmaco, costruite sulle più recenti evidenze di efficacia clinica disponibili in letteratura. Le prime schede ad essere definite riguarderanno i farmaci per le malattie da accumulo lisosomiale e saranno implementate nel Registro regionale delle malattie rare.

Conclusione. Questo sistema si configura come un nuovo strumento di governance dei farmaci ad alto costo destinati al trattamento di patologie rare, con l'obiettivo di assicurare appropriatezza d'uso dei farmaci e uniformità di accesso alle cure da parte dei pazienti, in un'ottica di sostenibilità del SSN.

[P:437]

TERAPIA CON ALFA-1-ANTITRIPSINA: PATOLOGIA RARA E COMPLIANCE

Eleonora Cannella, Nicoletta Avola, Sandra Guzzardi, Debora Sgarlata, Rosaria Sorbello, Fabio Ferlito, Giovanna Nobile, Roberta Cannamela, Emanuela Alfonso
UOC Farmacia P.O. Umberto I ASP Siracusa, Siracusa

Introduzione. Il deficit di Alfa-1-antitripsina (AATD), causata da una mutazione genetica che codifica per l'AAT, è una malattia genetica potenzialmente mortale che si manifesta con disturbi

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.150.163 Mon, 29 Apr 2024, 18:34:26

polmonari cronici ed enfisema, le manifestazioni cliniche variano dalle forme asintomatiche a quelle con malattie fulminanti. Nonostante sia una malattia rara rappresenta la prima causa di enfisema genetico negli adulti con circa 200.000 pazienti. La proteina alfa 1-antitripsina per via intravenosa, ricavata dal plasma umano e purificata, funge da inibitore della proteasi elastasi neutrofila impedendo il danno alveolare, ed è indicata in soggetti con carenza congenita di inibitore dell'alfa 1-proteinasi in relazione ad una compromissione del flusso respiratorio e alle condizioni di disabilità. Obiettivo del lavoro è stato garantire il facile accesso alle prestazioni assistenziali secondo il piano sanitario nazionale che prevede tra i livelli essenziali di assistenza la cura dei pazienti affetti da patologie rare e genetiche.
Materiali/metodi. La "presa in carico" di due pazienti presso l'UOC di Pneumologia, in regime di day hospital, ha coinvolto il farmacista ospedaliero nella gestione logistica/assistenziale. Per tutelare tutte le misure preventive opportune per i farmaci emoderivati e permettere la tracciabilità del farmaco, il farmacista procede ad un trasferimento informatico personalizzato con registrazione, ad ogni singolo trattamento, dei seguenti dati: paziente, lotto, scadenza e targatura. Nell'allestimento della soluzione per infusione ricostituita si devono garantire le condizioni di asepsi e il flacone è corredato del dispositivo Mix2Vial che permette di trasferire il sovente automaticamente nel flaconcino del farmaco, per cui il farmacista ha elaborato con il personale infermieristico del reparto un protocollo di allestimento ed è stato istituito un sistema di allert per il monitoraggio di eventuali eventi avversi.
Risultati. Il trattamento in atto da Gennaio 2017, per una spesa complessiva di 197.280,00€ più iva, si è dimostrato efficace, ha garantito per i pazienti un accesso semplificato alla prestazione, poiché nello stesso luogo di residenza, e ha suscitato nei pazienti una valutazione positiva nei confronti della struttura e della qualità del servizio. L'attività di valutazione delle caratteristiche chimico/fisiche del farmaco, delle modalità di allestimento e somministrazione ha migliorato la "compliance" anche con il personale infermieristico in termini di sicurezza e efficacia. Non sono stati registrati eventi avversi.
Conclusione. Il farmacista si trova attivamente coinvolto ad ottimizzare e rispondere alla complessità assistenziale richiesta dalle patologie rare, con l'attivazione di strumenti gestionali atti a garantire i bisogni terapeutici dell'assistito al fine di attuare e agevolare i percorsi terapeutici diagnostico assistenziali (Ptda).

[P:438]
HORIZON SCANNING DEL LENTIGLOBIN TM IN PAZIENTI TALASSEMICI TRASFUSIONI DIPENDENTI
Alessandra Fiore [2], Americo Cicchetti [1], Francesca Romana Rolli [2], Emanuele Angelucci [3], Gian Luca Forni [4], Matteo Ruggeri [2], Dario Sacchini [5], Antonio De Belvis [5], Pierluigi Navarra [5], Angelo Palmieri [2]
[1] Direttore, Alta Scuola di Economia e Management dei Servizi Sanitari (ALTEMS) - Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma
[2] Alta Scuola di Economia e Management dei Servizi Sanitari (ALTEMS) - Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma
[3] Dipartimento di ematologia (ematologia e centro trapianti), Ospedale San Martino, Genova
[4] Centro della Microcitemia, Anemie Congenite e Dismetabolismo del Ferro Ospedale Galliera, Genova
[5] Policlinico Universitario A.Gemelli IRCCS, Roma
Introduzione. La beta talassemia è un gruppo di malattie ereditarie del sangue, causata da una ridotta o assente sintesi delle catene beta dell'emoglobina, che si traduce in una anemia grave con produzione inefficace di globuli rossi. Tale patologia è dovuta a una mutazione nel gene HBB sul cromosoma 11, ereditato in modo autosomico recessivo. In generale, più di 40.000 bambini con Beta-talassemia nascono ogni anno. In Italia, si stima che ci 7000 pazienti con Beta-talassemia richiedono trasfusioni. La Beta-talassemia trasfusione-dipendente (TDT) è molto diffusa in Sicilia, Sardegna e Puglia; ma anche in altre 10 regioni italiane. Lo scopo dello studio è produrre una valutazione di HTA che sintetizzi le evidenze relative alla sicurezza e l'efficacia e l'impatto organizzativo e economico del trattamento in un'unica somministrazione della terapia genica a base di LentiGlobin.
Materiali/metodi. Una revisione sistematica della letteratura è stata eseguita sui principali motori di ricerca. Due revisori hanno selezionato in doppio cieco gli studi selezionati rispetto ad alcuni criteri di inclusione/esclusione predefiniti. Gli studi selezionati sono stati sintetizzati seguendo le linee guida definite nel Core Model EuNetHTA 3. Inoltre, al fine di comprendere l'utilizzo della tecnologia in Italia e del suo impatto in termini clinici ed economici, è stato istituito un Advisory Board multidisciplinare.
Risultati. La terapia genica per pazienti con emoglobinopatie si basa attualmente sul trapianto con un vettore lentivirale (LV) di cellule staminali ematopoietiche autologhe (HSC) geneticamente modificate che esprime un gene globinico sotto il controllo di elementi regolatori trascrizionali globinici. L'utilizzo della tecnologia, evita il bisogno di un donatore compatibile e quindi evita il rischio di trapianto e quindi di rigetto del trapianto. Infine, nessun evento avverso grave è stato attribuito alla terapia del gene HSCT basata su LV ex vivo per TDT.
Conclusione. La terapia genica, che utilizza HSC autologhe e geneticamente modificate appare come un'opzione valida per il trattamento di pazienti con talassemia.
Bibliografia. Colah R, et al. Expert Rev Hematol 2010;3(1):103-17. Modell B and Darlison M. Bulletin of the World Health Organization 2008;86:480-7. Cavazzana M, Antoniani C, Miccio A. Gene Therapy for BETA-Hemoglobinopathies. Mol Ther 2017 May 3;25(5):1142-54.

[P:439]
ANAKINRA NEL TRATTAMENTO DELLA FEBBRE FAMILIARE MEDITERRANEA REFRATTARIA ALLA COLCHICINA: UN CASE REPORT
Davide Ferrante, Simone Borchetto, Davide Cumetti, Antonio Luca Brucato, Marcello Sottocorno
ASST Papa Giovanni XXIII, Bergamo
Introduzione. La Febbre Mediterranea Familiare (FMF - malattia afferente al gruppo delle amiloidosi primarie e familiari) rientra nell'elenco delle Malattie Rare della regione Lombardia (Codice esenzione RCG130) ed è all'interno del Percorso Diagnostico, Terapeutico e Assistenziale (PDTA) corrispondente. Il PDTA prevede l'utilizzo di trattamenti alternativi ancora in fase sperimentale in caso di resistenza alla terapia con colchicina. Descriviamo il caso di una paziente affetta da Febbre Mediterranea Familiare trattata con Anakinra al di fuori dell'indicazione prevista dall'AIC.
Materiali/metodi. Vi sono preliminari evidenze sull'efficacia di farmaci anti-citochine, come Anakinra, in pazienti con diagnosi clinica, confermata geneticamente, di FMF resistenti o intolleranti a colchicina. La paziente, donna di 38 anni, rientrava in questi criteri valutativi. Il protocollo, prescritto a fine 2016 e ad oggi attivo, prevede la somministrazione sottocutanea di Anakinra 100 mg a giorni alterni: il trattamento, ed il relativo costo, sono stati gestiti secondo le modalità prescrittive previste dalle Regole di Sistema di Regione Lombardia Malattie rare e derogabilità a carico del SSR.
Risultati. In sede di ultima rivalutazione (01/06/2017) la paziente assumeva Anakinra 1 fiala s.c. a giorni alterni oltre a colchicina (assunta da diversi anni senza beneficio). La rivalutazione è avvenuta bimestralmente: prima di cominciare ad assumere Anakinra la qualità di vita era pessima, caratterizzata da febbre e algie addominali importanti associate a crisi che duravano 7-10 giorni, periodi di allettamento e impossibilità lavorativa. La paziente, con l'introduzione di Anakinra, ha riportato un enorme beneficio clinico: all'inizio della terapia ha segnalato solo pochi ponfi in sede d'iniezione, algie addominali e stati febbrili praticamente risolti.
Il costo di Anakinra 100 mg è di 28,86 € (ex-factory) e la spesa annuale è stata di 5.267 €. Tenuto conto del Percorso di valutazione di un trattamento con farmaco off label per pazienti affetti da malattia rara ed in attuazione delle Regole di Sistema di Regione Lombardia il farmaco è stato rendicontato in File F.
Conclusione. Regione Lombardia ha individuato un percorso per utilizzare farmaci fuori indicazione in Percorsi Diagnostico Terapeutici che sono stati standardizzati e validati. Il monitoraggio dell'uso off-label consente, inoltre, la tracciabilità delle cure e una sempre più stretta collaborazione medico-farmacista. La corretta modalità d'approccio permette la razionalizzazione della spesa anche per questi casi che seguono flussi di rendicontazione diversi da quelli previsti per i farmaci in indicazione.

[P:440]
FARMACO INNOVATIVO NUSINERSEN: PRIMI DATI DA REAL LIFE
Anna Esposito, Claudia Panico, Angela Luoni
ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano
Introduzione. Con la determina AIFA 1611/2017 il farmaco Spinraza (nusinersen), oligonucleotide antisenso utilizzato per l'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q, viene inserito nel fondo dei farmaci innovativi non oncologici. Obiettivo del presente lavoro è quello di analizzare mediante l'estrapolazione dei dati dal Registro di Monitoraggio AIFA il numero dei pazienti avviati al trattamento

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.150.163 Mon, 29 Apr 2024, 18:34:26

e/o in prosecuzione di terapia dalla precedente autorizzazione all'uso compassionevole e le segnalazioni di reazione avversa e i primi dati di rivalutazione clinica.
Materiali/metodi. Il Registro AIFA di Monitoraggio e il flusso di rendicontazione File F da ottobre 2017 a maggio 2018 sono gli strumenti da cui ricavare i dati epidemiologici e di risposta clinica dei pazienti in trattamento. Le informazioni estratte sono analizzate per: nuovi pazienti arruolati rispetto al numero di pazienti che avevano già avviato il trattamento mediante uso compassionevole, età all'esordio della patologia, tipologia di SMA e fenotipo, segnalazioni di reazioni avverse e risposte cliniche alla rivalutazione dello stato di malattia.
Risultati. Il numero di pazienti arruolati al trattamento, nel periodo di osservazione ottobre 2017-maggio 2018, è di 48 pazienti di cui 25 pazienti risultano aver già avviato il trattamento secondo uso compassionevole. L'esordio della patologia è stato entro il primo anno di vita cosi come confermato dal tipo di fenotipo. L'età dei pazienti in trattamento è cosi suddivisa: 36 pazienti hanno un età inferiore ai 10 anni, 7 pazienti hanno una età maggiore ai 10 anni e 5 pazienti sono in età adulta (oltre i 40 anni di età). L'analisi del tipo di fenotipo evidenzia questa suddivisione: 25 pazienti risultano essere di fenotipo 1, 11 di fenotipo 2, 7 di fenotipo 3a, 3 di fenotipo 3b e 2 di fenotipo 3. I dati di rivalutazione clinica indicano per tutti i pazienti una stabilità di malattia e in un solo caso un peggioramento di malattia. Le segnalazioni registrate sono state di tipo non grave e comuni dovute a "cefalea" oltre ad una segnalazione di pericolo di vita dovuta a ipossia neonatale.
Conclusione. Nonostante non vi sia ad oggi la possibilità di un confronto diretto tra Nusinersen e altre terapie, il bisogno terapeutico è considerato massimo e supportato dagli studi registrativi Endear e Cherish che avvalorano l'efficacia e la sicurezza. La priorità è rivolta non solo al paziente affinchè abbia accesso alla terapia ma anche alla sostenibilità economica, ad oggi garantita all'accesso del fondo innovativo per farmaci non oncologici.

[P:441]
USO DI LOMITAPIDE IN UN CASO DI IPERCOLESTEROLEMIA FAMILIARE OMOZIGOTE

Anna Marra [1], Marcella Barotto [1], Marcello Delfino [2], Marica Macrina [1], Magda Zammataro [2], Carlo Crespini [2], Adriana Donzelli [2], Gennaro Fresca [2], Brunella Quarta [1], Micheline Khodeir [1]
[1] Azienda Ospedaliero-Universitaria Di Ferrara, Ferrara
[2] Azienda USL Di Ferrara, Ferrara

Introduzione. L'ipercolesterolemia Familiare Omozigote (cod: RCG070) è una malattia rara causata da difetti congeniti del metabolismo delle lipoproteine. L'approccio terapeutico farmacologico di base è costituito da statine ed ezetimibe ai dosaggi massimi tollerati. La disponibilità in commercio di inibitori PCSK9, in particolare di evolocumab, ha rappresentato un'importante alternativa in caso di inefficacia di terapia di prima linea. Un ulteriore approccio è dato da Lomitapide, il cui utilizzo viene considerato di "seconda scelta" rispetto ad evolocumab.
Materiali/metodi. L'analisi ha riguardato un paziente maschio di 52 anni, affetto da ipercolesterolemia familiare omozigote con valori di LDL pari a 484 mg/dl. Il paziente proveniva da un RCT con PCSK9i, ma tale terapia è risultata inefficace. Il trattamento è stato sostituito con Rosuvastatina 20 mg in associazione con Ezetimibe 10 mg, in concomitanza alla procedura di lipidoaferesi una volta alla settimana. In ottobre 2015, il clinico considerato il valore di LDL pari a 286 mg/dl, propone di trattare il paziente con Lomitapide.
Risultati. Nello studio registrativo di Lomitapide è stata valutata l'efficacia del farmaco a 26 e 78 settimane di trattamento ed è stata definita significativa una riduzione del 20% di LDL alla 26ª settimana. Dall'analisi dei dati alla 80 ª settimana, in seguito ad un regolare trattamento con Lomitapide, Rosuvastatina in associazione a Ezetimibe, nel paziente si osserva un valore di colesterolo totale pari a 332 mg/dl, con HDL 56 mg/dl, TG 77 mg/dl e LDL 260 mg/dl.
Conclusione. Dai dati ottenuti risulta che la terapia a base di Lomitapide è ben tollerata dal paziente, a differenza di quello che era accaduto durante il trattamento sperimentale con PCSK9i. I risultati del trattamento eseguito non sono paragonabili con quelli ottenuti nello studio registrativo, ma è rilevabile una diminuzione del valore di LDL di circa il 9%. Considerato l'elevato rischio vascolare,è opportuno ritenere la terapia favorevole, nonostamte l'elevato costo, tenendo conto della riduzione del valori di LDL prodotti.
Bibliografia. Gruppo di lavoro multidisciplinare. Documento regionale di indirizzo sul ruolo dei alirocumab ed evolocumab nella prevenzione cardiovascolare. Maggio 2017. Assessorato alla Sanità e Politiche Sociali Regione Emilia Romagna.

[P:442]
EPIDEMIOLOGIA ED IMPATTO ECONOMICO DELLA MALATTIA DI FABRY RELATIVAMENTE AI PAZIENTI ASSISTITI DALL'AZIENDA OSPEDALIERA UNIVERSITARIA DI SASSARI

Stefano Cortese [1], Maura Fois [2], Antonio Solinas [3], Chiara Altana [1], Battistina Sanna [3]
[1] Università degli Studi di Sassari. Dipartimento di Chimica e Farmacia - Scuola di Specializzazione Farmacia Ospedaliera, Sassari
[2] Università degli Studi di Sassari. Scienze Mediche Chirurgiche e Sperimentali, Sassari
[3] Azienda Ospedaliero-Universitaria di Sassari. UOC Farmacia Ospedaliera, Sassari

Introduzione. Le malattie da accumulo lisosomiale sono un gruppo di patologie rare, ereditarie, recessive, autosomiche o X-linked, che portano all'accumulo di sostanze nei lisosomi a causa della carenza degli enzimi necessari alla loro metabolizzazione. All'interno di tale gruppo rientra la Malattia di Fabry (MF), caratterizzata dall'accumulo di triesosilceramide per la carenza di αgalattosidasi. I sintomi caratterizzanti sono la presenza di angiocheratomi e la neuropatia periferica con dolori urenti degli arti mentre l'exitus è generalmente dovuto ad insufficienza renale o respiratoria oppure a complicanze cardiache o cerebrali. La diagnosi si può effettuare evidenziando il deficit enzimatico e la presenza della mutazione. Il trattamento della MF prevede la terapia enzimatica sostitutiva (agalsidasi alfa o beta), con infusione endovenosa ogni 15 giorni, e la terapia orale chaperonica (migalastat) con assunzioni a giorni alterni. Scopo del lavoro è raccogliere ed analizzare i dati epidemiologici della MF nel Nord Sardegna per il periodo gennaio 2016 – maggio 2018 e la spesa farmaceutica ad essa correlata.
Materiali/metodi. I dati epidemiologici della MF e quelli relativi ai trattamenti attivati, sono stati estratti dai flussi del NSIS relativi al periodo considerato.
Risultati. Nel periodo considerato sono stati attivati esclusivamente trattamenti con agalsidasi alfa per l'assistenza di quattro pazienti, due di genere maschile (età media 37,5 -/+ 5) e due di genere femminile (età media 45 +/- 24), dei quali tre imparentati. Analizzando anno per anno le somministrazioni effettuate risulta che solo nel 2016 sono stati effettuati dei trattamenti ogni due settimane per tutti i pazienti mentre già nell'anno 2017 per un paziente non sono più state effettuate somministrazioni e per altri due, imparentati col precedente, è stata eseguita una singola infusione. Continua dunque nel 2018 un solo paziente ma in maniera incostante (due somministrazioni in cinque mesi).
L'andamento delle somministrazioni porta ad un decremento della spesa farmaceutica correlata passando da euro 487.043 nel 2016 ad euro 106.642 nel 2017 (-78%) ed infine euro 10.156 nel 2018 con una possibile proiezione per i restanti mesi dell'anno di ulteriori euro 25.390 (totale presunto 2018: euro 35.546 con una riduzione del 93% rispetto al 2016).
Conclusione. Considerato che non è stato possibile aver accesso alle cartelle cliniche dei pazienti resterebbe da chiarire la causa della cessazione dei trattamenti (errata diagnosi iniziale, deficit enzimatico lieve, mancata compliance/cambio centro di riferimento o exitus). Qualora sia legata ad una scarsa compliance è sicuramente necessario un maggior sforzo di tutti gli operatori coinvolti per evitare trattamenti inefficaci.

[P:443]
VALUTAZIONE DELL'IMPATTO CLINICO ED ECONOMICO DEI FATTORI DELLA COAGULAZIONE NEI PAZIENTI EMOFILICI PRESSO LA AOU DI SASSARI

Chiara Altana [1], Stefano Cortese [1], Mauro Farina [1], Antonio Solinas [2], Gabriella Carmelita [2]
[1] Università degli Studi di Sassari. Dipartimento di Chimica e Farmacia - Scuola di Specializzazione Farmacia Ospedaliera, Sassari
[2] Azienda Ospedaliero-Universitaria di Sassari. UOC Farmacia Ospedaliera, Sassari

Introduzione. L'emofilia é una malattia emorragica legata al cromosoma X, rara, causata da mutazioni nei geni che codificano per i fattori VIII (emofilia A) e IX (emofilia B) della via intrinseca della coagulazione. Si presenta con forme gravi, medie e lievi, definite rispettivamente da livelli di fattore nel plasma sotto 1%, tra 2-5% e tra 6-40%. La incidenza del tipo A è 1/5000 maschi

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.150.163 Mon, 29 Apr 2024, 18:34:26

nati vivi e quella B di 1/30000. In passato le trasfusioni di sangue umano rappresentavano l'unica fonte di fattori della coagulazione. Ora il trattamento standard prevede la somministrazione di fattori della coagulazione, ricombinanti o meno, derivati dal plasma oltre ad altri farmaci quali desmopressina o antifibrinolitici. In questo lavoro viene valutata l'aderenza al trattamento e l'impatto sulla spesa sanitaria correlata all'uso dei suddetti farmaci nel periodo 2016-2017.
Materiali/metodi. Sono state analizzate le prescrizioni pervenute presso la Farmacia Ospedaliera relative ai trattamenti dal 2016 al 2017. I parametri presi in considerazione sono stati il genere, l'età dei pazienti, il comune di nascita, l'aderenza alla terapia attraverso l'esame dei switch terapeutici. I dati di consumo e di spesa sono stati estrapolati dai flussi del debito informativo (NSIS).
Risultati. I pazienti in trattamento nel biennio analizzato sono 16 (tutti di sesso maschile, affetti da emofilia di tipo A) aventi un'età media di 37 anni, nati tutti nel Nord Sardegna tranne uno (nato in Argentina). Nel biennio considerato sono stati impiegati: Octocog alfa (10 pazienti in terapia per una spesa di euro 2.146.106,03); Moroctocog alfa (3 pazienti per euro 1.209.448,82); Fibrinogeno Umano (2 pazienti per euro 227.040,00) e Fattore VIII della Coagulazione del plasma umano (1 paziente per euro 154.800,04). La spesa complessiva è stata pari ad 1.306.122,99 euro nel 2016 e 2.431.210,90 euro nel 2017. Nessuno ha effettuato switch terapeutici (vi sono stati dei cambiamenti del dosaggio mantenendo gli stessi farmaci).
Conclusione. Grazie alle innovazioni tecnologiche avutesi nel corso degli anni, la qualità della vita dei pazienti affetti da emofilia, che sia di tipo A o B, è notevolmente aumentata grazie anche alla disponibilità di nuove terapie oltre alla semplice trasfusione di sangue che, quantomeno in passato, era spesso associata ad infezioni da HIV, HCV, HBV ecc… Considerando che è sempre necessaria un'infusione endovenosa del medicinale, un nuovo punto di svolta potrebbe essere rappresentato dallo sviluppo di una alternativa somministrabile per via orale.

[P:444]
MONITORAGGIO DELLA SPESA FARMACEUTICA TERRITORIALE DEL FATTORE VIII DELLA COAGULAZIONE: SCELTE TERAPEUTICHE E QUALITÀ DI VITA
Sabrina Cherchi [1], Stefania Antonacci [2], Grazia Mazzone [2], Alessandra Mazza [1], Luca Scalone [1], Angela Chielli [2]
[1] Università degli Studi di Bari_ SSFO, Bari
[2] Area Farmaceutica Territoriale, ASL BA, Bari
Introduzione. Il trattamento dell'emofilia A è caratterizzato dalla terapia sostitutiva con somministrazione endovena del fattore VIII della coagulazione. I Fattori VIII oggi disponibili sul mercato sono suddivisibili in concentrati derivanti dalla lavorazione del plasma umano (plasmaderivati) e concentrati prodotti attraverso la tecnologia DNA-ricombinante, aventi livelli di emivita differenti: standard-life o extended-life. Questi ultimi rappresentano la categoria farmaceutica più costosa attualmente in commercio; tale terapia spesso consiste in una profilassi a vita. Il nostro lavoro consiste nel confronto tra i fattori VIII extended-life e standard-life, con l'obiettivo di valutare i reali vantaggi in termini di costo e qualità di vita, misurata in funzione del numero di infusioni mensili.
Materiali/metodi. I dati di consumo e quelli di spesa sono stati estrapolati utilizzando il gestionale aziendale e il Sistema informatico Sanitario Regionale: abbiamo analizzato i piani terapeutici (PT) di tutti i pazienti afferenti alla nostra Azienda Sanitaria Locale (ASL) verificando le indicazioni presenti sui Riassunti delle Caratteristiche del Prodotto delle specialità medicinali, i tempi di emivita, la frequenza di infusione, i dosaggi utilizzabili.
Risultati. Complessivamente i pazienti afferenti alla ASL e affetti da Emofilia A sono 60 di cui 14 hanno effettuato il cambio di terapia da fattore VIII ricombinante ad emivita standard al fattore VIII ricombinante ad emivita estesa; di questi due hanno effettuato il passaggio ad Efmoroctocog alfa e 12 a Octacog alfa full-lenght. Dall'analisi del PT otto pazienti mostrano dosaggi invariati rispetto alla precedente terapia, tre pazienti hanno PT che mostrano una richiesta incrementale del dosaggio e solo tre pazienti hanno PT che mostrano una richiesta decrementale del dosaggio. Dai dati di real life per dieci di essi si è potuto osservare un incremento di consumi ed un incremento di costi, in quattro casi si è osservato un decremento dei costi, due pazienti appartenenti a quest'ultima casistica hanno ridotto drasticamente le infusioni, non in linea con il PT redatto dallo specialista.
Conclusione. La modifica terapeutica da Fattori VIII standard-life a Fattori VIII extended-life potrebbe essere giustificato da un miglioramento della qualità di vita dei pazienti che passerebbero da tre a due infusioni settimanali, anche se questo inducesse un aumento della spesa. Dall'analisi dei risultati è emerso che negli shift di terapia non si sono constatate né riduzioni del dosaggio prescritto, né dei costi sostenuti per gli acquisti. Pertanto si ritiene che il cambio di terapia andrebbe supportato da valutazioni cliniche per verificare la concentrazione ematica del fattore di coagulazione durante la terapia infusionale.

[P:445]
LA DISTRIBUZIONE DI FARMACI PER L'IPERTENSIONE ARTERIOSA POLMONARE: ESPERIENZA DI UN ASL PIEMONTESE
Marco Lecis, Elena Viglione, Stefania Strobino, Sabrina Martinengo, Annamaria Rosa, Chiara Buffa, Gabriella Tolu, Carla Alloi, Grazia Ceravolo
ASL TO3, Rivoli
Introduzione. Negli ultimi anni la farmacia ospedaliera dell'ASL esaminata, che ha in carico circa 600000 cittadini, ha spedito piani terapeutici per Malattia Rara con farmaci per il trattamento dell'ipertensione arteriosa polmonare (IAP). È cambiato radicalmente l'approccio alla terapia sia da un punto di vista dei farmaci a disposizione con target terapeutici selettivi, sia dal punto di vista della prescrizione in quanto sono possibili terapie con due/tre farmaci in associazione. Gli obiettivi di questo studio sono stati principalmente due: epidemiologico per capire sei dati provenienti dalla Farmacia Ospedaliera fossero in accordo con quelli derivanti dalla letteratura; di consumo per poter analizzare il trend prescrittivo passato e presente.
Materiali/metodi. Sono stati raccolti i dati dal software di magazzino della distribuzione diretta ed elaborati tramite Microsoft Excel e Access e sono state estratte informazioni informazioni di carattere epidemiologico, prescrittivo dal 2004 al 2017. Inoltre è stata analizzata la frequenza di prescrizione di terapie in combinazione dal 2012 al 2017.
Risultati. Si è potuto rilevare che l'età media dei pazienti è sovrapponibile ai dati di letteratura mentre la prevalenza di genere è risultata essere maggiore per il sesso femminile. I pazienti sono passati da un numero di 6 nel 2004 a 57 del 2017, in totale sono transitati presso la distribuzione diretta 139 pazienti dal 2004 dei quali sono deceduti il 39,6% con sopravvivenza media di 2,8 anni e l'età media al primo ritiro è stata di 56 anni. Il trend prescrittivo vede una progressiva ridistribuzione dei consumi con aumento delle prescrizioni di farmaci innovativi a scapito di farmaci come il sildenafil e il bosentan. L'associazione di farmaci è una strategia ormai consolidata e i dati rilevati si allineano con quanto descritto nelle linee guida specialistiche.
Conclusione. I progressi fatti negli ultimi anni nel campo farmacologico e della diagnosi hanno permesso opzioni terapeutiche diversificate e di migliorare la qualità di vita e la sopravvivenza dei pazienti. Avendo un armamentario terapeutico più vasto con farmaci cosiddetti innovativi anche la spesa ha subito una netta impennata nell'ultima decade e in particolare negli ultimi 5 anni. Con la caduta del brevetto del sildenafil e del bosentan però, a partire dai prossimi mesi dovrebbe essere riscontrabile una diminuzione della spesa per questi farmaci che aprirà alla possibilità di una nuova analisi.
Bibliografia. Galiè, N. et al. 2015 ESC/ERS Guidelines for the diagnosis and treatment of pulmonary hypertension Eur. Heart J. 37, 67–119 (2016). Orphanet, prevalenza Ipertensione arteriosa polmonare: Riassunto. 2–3 (2017).

[P:446]
FARMACI PER MALATTIE RARE: L'ESPERIENZA DI UN SERVIZIO FARMACEUTICO TERRITORIALE
Maurizio Capuozzo[1], Stefania Cascone[1], Lucia Castellano[1], Gianluca De Seta[1], Livia Nava[1], Claudia Cinque[2], Eduardo Nava[1]
[1] ASL Napoli 3 Sud, Napoli
[2] ASL Napoli 1 Centro, Napoli
Introduzione. Le Malattie Rare (MR) sono patologie ad alta eterogeneità per i profili di insorgenza, eziopatogenesi e sintomatologia. La prevalenza delle MR nella popolazione è inferiore a 5 casi ogni 10.000 abitanti, tuttavia, costituiscono un problema di sanità pubblica, non solo per la numerosità delle stesse, ma anche per i ritardi delle prese in carico come spesso accade, per i trattamenti spesso non appropriati e per le difficoltà diagnostiche. Obiettivo di questo lavoro è quello di analizzare e valutare la spesa sostenuta nel nostro Distretto Sanitario (abitanti circa 60.000) per i farmaci impiegati nel trattamento dei pazienti affetti da MR nel biennio 2016-2017.
Materiali/metodi. Sono stati analizzati tutti i piani terapeutici

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.150.163 Mon, 29 Apr 2024, 18:34:26

per MR pervenuti presso la nostra farmacia territoriale da gennaio 2016 a dicembre 2017. Abbiamo focalizzato la nostra attenzione sui seguenti indicatori: numero di unità posologiche erogate (UP) per ciascun tipo di farmaco che ci è servito per calcolare la spesa farmaceutica esatta; numero di pazienti; tipologia della malattia rara; prevalenza. Tutti i dati sono stati ricavati grazie all'integrazione ed all'interrogazione dei due gestionali di carico/scarico aziendali (OLIAMM, EDF) ed anche grazie al cartaceo.

Risultati. La spesa farmaceutica sostenuta nel biennio considerato è risultata pari a 54.000 euro (18.000 euro circa per l'anno 2016 e 36.000 euro per l'anno 2017). I farmaci che hanno influito maggiormente sulla spesa sono stati quelli utilizzati per trattare (in ordine decrescente di spesa): 5 Distrofie (prevalenza=0,83/10.000), 3 Ittiosi (prevalenza=0,5/10.000), 3 Retinite Pigmentosa (prevalenza = 0,5/10.000), 2 SLA (prevalenza =0,33/10.000), 1 disturbo del ciclo dell'urea, 1 Displasia Ectodermica, 2 Ipogonadismo con anossia (prevalenza= 0,33/ 10.000), 2 morbo di Cooley (prevalenza=0,33/10.000), 1 Sindrome di Rett, 2 Sindrome di Lennox-Gastault e 2 Sindrome da pseudo-ostruzione-intestinale (prevalenza=0,33/10.000).

Conclusione. L'analisi svolta e le valutazioni fatte, ci hanno permesso di capire non solo l'entità della spesa sostenuta per tali farmaci ma anche come la stessa si è evoluta nei due anni considerati (nel 2017 raddoppia rispetto al 2016). Ciò ha permesso di comprendere quanto sia realmente importante, per il farmacista ospedaliero, eseguire un monitoraggio costante delle prescrizioni, sia per un'attenta verifica dell'appropriatezza prescrittiva, sia per una migliore programmazione e gestione dell'acquisto, dello stoccaggio e della dispensazione, al fine di ottimizzare le risorse disponibili e migliorare la sostenibilità economica della cura di tali pazienti che, tra l'altro, vista l'eterogeneità delle patologie, comportano differenze assistenziali che incidono con ampia variabilità sulla spesa sanitaria, complicando notevolmente l'allocazione delle risorse da dedicare.

[P:447]

IL TRATTAMENTO DELLE LSD PRESSO UN OSPEDALE DELLA REGIONE CAMPANIA

Luigi Bonavita, Maria Pappalardo
UOFI 02 - ASLNAPOLI 3 Sud, Cercola

Introduzione. Le malattie da accumulo lisosomiale(LSD) costituiscono un raro gruppo di malattie metaboliche ereditarie, dovute al deficit di uno specifico enzima lisosomiale. Nel biennio 2016-2017, le LSD trattate presso il P.O. dove presto servazio sono state la Malattia di Gaucher di tipo I e la Mucopolisaccaridosi di tipo I(MPS I). La terapia per le LSD prevede l'infusione endovenosa di uno specifico enzima lisosomiale ricombinante, quale Imiglucerasi per la Malattia di Gaucher di tipo I e Laronidasi per la MPS I. Infatti tale enzima, una volta internalizzato dalle cellule del paziente, andrà ad esplicare la sua attività catalitica nei lisosomi; rimuovendo i substrati accumulatesi in situ. L'obiettivo di questo lavoro è quello di valutare il consumo e la spesa annua, sostenute dal l'ospedale dove presto servizio, per il trattamento delle LSD in pazienti appartenenti a diverse fasce d'età; nel biennio 2016-2017.

Materiali/metodi. Tale analisi è stata condotta esaminando le richieste motivate di Imiglucerasi 400 U.I. e Laronidasi 500 U.I., pervenute presso la Farmacia interna del P.O. dove presto servizio, dai reparti di Medicina e Pediatria. Inoltre, avvalendosi del software gestionale del magazzino, è stato estrapolato il numero di fiale consumate annualmente e relativo prezzo, in modo da calcolare la spesa annua sostenuta.

Risultati. Nel biennio 2016-2017, per la malattia di Gaucher di tipo I, sono stati trattati 8 pazienti, con età compresa tra i 12 ed i 65 anni. In particolare, nel 2016 sono state utilizzate 879 fiale di Imiglucerasi 400 U.I.; determinando una spesa annua di 1.284.778,00€, invece nel 2017 ne sono state impiegate 883 con una spesa pari a 1.290.624,588€. Nello stesso biennio per la MPS I è stato trattato solo un paziente pediatrico. Nel 2016 tale paziente ha effettuato 5 fiale di Laronidasi al week, determinando un consumo annuo di 210 fiale ed una spesa annua di 15.054.270€. Nel 2017, a causa dell'aumento del suo peso corporeo, è stato necessario incrementare tale terapia a 6 fiale/week, determinando un consumo annuo di 136 fiale ed una spesa annua di 9.749.432€.

Conclusione. Dall'analisi dei dati relativi al biennio 2016-2017, risulta evidente che, nel 2017, il consumo di Laronidasi si è ridotto notevolmente rispetto all'anno precedente, a causa della mancata aderenza del paziente alla terapia. Invece, il consumo di Imiglucerasi è rimasto costante, in quanto non sono variati né il numero di pazienti in trattamento né il numero di fiale prescritte.

[P:448]

NUSINERSEN, UN NUOVO FARMACO AUTORIZZATO PER IL TRATTAMENTO DELLA SMA: EFFICACIA, SICUREZZA E SOSTENIBILITÀ

Angela Colomba Bonagura [1], Valentina Lanzara [2], Salvatore Buono [1], Paola Caponegro [1], Roberta Colasanti [1], Gianfranco Guarino [1], Paola Lucugnano [1], Antonio Varone [1], Giovanna Margiotta [1]
[1] AORN Santobono-Pausilipon, Napoli
[2] Università Degli Studi Della Campania Luigi Vanvitelli, Napoli

Introduzione. Nusinersen è un farmaco innovativo(ex art 1 c. 400,L 232/2016) autorizzato per il trattamento della malattia rara Atrofia Muscolare Spinale(SMA); si somministra per via intratecale in bolo alla dose di 12mg (4 dosi di carico ai giorni 0, 14, 28 e 63 seguite da una dose di mantenimento ogni 4 mesi), è sottoposto a monitoraggio AIFA e ad un accordo negoziale, finalizzato al rimborso delle prime due fiale della dose di carico per ciascun nuovo paziente. Dal 07/12/2017 la nostra Azienda, identificata come centro prescrittore, ha attivato tale protocollo. Obiettivo dello studio è stato valutarne efficacia, sicurezza, consumo e spesa.

Materiali/metodi. Dal 07/12/2017 al 14/06/2018 sono state: • esaminate/catalogate/evase le richieste nusinersen; • valutata l'efficacia tramite scala CHOP-INTEND (Children's Hospital of Philadelphia Infant Test for Neuromuscular Disorders, comprendente 16-items, con punteggi diversi per ciascun emilato, per massimo 64 punti), somministrata per ciascun paziente al tempo 0 e dopo la fase di attacco; • monitorate eventuali sospette reazioni avverse(ADR); • estratte le informazioni di consumo e spesa con applicativo OLIAMM.

Risultati. Sono stati arruolati 11 pazienti: 2 sono alla quinta dose, 3 alla quarta, 1 alla terza, 2 alla seconda, 1 è deceduto dopo 10 giorni dalla prima dose, altri 2 pazienti, provenienti da altri centri, sono rispettivamente alla sesta e settima dose. Complessivamente risultano effettuate 32 somministrazioni, per una spesa di €2.464.000(€77.000/fiala IVA compresa), a fronte di un rimborso di €1.309.000 secondo l'accordo negoziale. Sui pazienti arruolati nel nostro centro, che hanno superato la quarta dose, i punteggi medi della CHOP-INTEND erano: 17.6±6.15 al tempo 0 e 28.8±5.11 dopo le dosi di carico. Si è verificato un decesso(arresto cardiorespiratorio) "non dovuto al farmaco" ma alle condizioni già critiche del paziente, segnalato comunque come ADR.

Conclusione. Il miglioramento della funzionalità motoria ha mostrato una buona efficacia e sicurezza clinica, anche dopo le sole dosi di carico, confermando momentaneamente, quanto evidenziato nella sperimentazione. L'aspetto economico è importante e attualmente sostenibile dalle aziende solo perché nusinersen è nei farmaci innovativi, ma vista la cronicità della malattia e del trattamento con conseguente incremento dei pazienti da trattare, si auspica una rinegoziazione del prezzo, affinché i fondi siano utilizzati per il maggior numero di pazienti.

Bibliografia. Mercuri E. et al Diagnosis and Management of Spinal Muscular Atrophy: Part 1: Recommendations for Diagnosis, Rehabilitation, Orthopedic and Nutritional Care. Neuromuscolar disord. 2018 Feb;28(2):103-15. Finkel RS et al. Nusinersen versus Sham Control in Infantile-Onset Spinal Muscular Atrophy. N Engl J Med. 2017 Nov 2;377(18):1723-2.

[P:449]

STRUMENTI NEL MONITORAGGIO DEI FARMACI ANTIBIOTICI PRESSO UN CENTRO REGIONALE FIBROSI CISTICA (CRFC)

Laura Cingolani[1], Giovanni B. Ortenzi[1], Benedetta Fabrizzi[2], Adriana Pompilio[1], Angela M. F. Garzone[1], Emanuela Andresciani[1] ,Maria Alessandra Berardi[3], Claudia Clemente[1], Francesca Orecchioni [4], Nicole Caporelli [2], Alessandro Ortenzi [1], Rosaria Polo [1], Vincenzo Moretti [1]
[1] A.O.U. Ospedali Riuniti Sod Farmacia, Ancona
[2] A.O.U. Ospedali Riuniti Centro Regionale Fibrosi Cistica, Ancona
[3] Università Degli Studi Di Camerino Scuola Di Farmacia E Scienze Del Farmaco, Camerino
[4] A.O.U. Ospedali Riuniti Sod Laboratorio Analisi, Ancona

Introduzione. La Fibrosi Cistica (FC) è la malattia genetica mortale più comune, incidenza circa 1/4000nati/anno. Le più importanti problematiche sono a livello respiratorio e conducono a infezioni ricorrenti, riacutizzazioni, instaurarsi di resistenze batteriche, con elevati impieghi di antibiotici. Il nostro CRFC, istituito in ottemperanza alla legge 548/1993, ha in carico 220 pazienti, età media 20.09 anni, 2/3 presentano forme classiche, maggiormente complesse, 1/3 a minore espressione. Obiettivo di questo lavoro è illustrare alcuni strumenti di monitoraggio della

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.150.163 Mon, 29 Apr 2024, 18:34:26

terapia antibiotica, nei pazienti FC nel periodo 01/01/2014-31/05/2018, focalizzando l'attenzione sui farmaci di nuova generazione:Tigeciclina, Linezolid, Fosfomicina ev, Ceftolozano-Tazobactam.
Materiali/metodi. In stretta collaborazione col CRFC e col Laboratorio Analisi-sezione Microbiologia, abbiamo monitorato l'utilizzo degli antibiotici,classe ATC J01, analizzando: scarichi di reparto da gestionale aziendale, richieste cartacee per antibiotici sottoposti a Richiesta Motivata (RM) e off-label, report dei referti microbiologici sulle resistenze locali, audit clinici coi medici del reparto e valutazione degli eventi avversi (ADR).
Risultati. Nel periodo in esame il monitoraggio ha rilevato un aumento del 24% (350-2014;434-2017) dei consumi dei farmaci antibiotici, espressi come DDD/100giornate di degenza, attribuibile in misura maggiore a Meropenem,+73%(74-2014;128-2017) a fronte di una diminuzione di Tobramicina(-29.7%) e Ceftazidima (-15.8%). Dalla consultazione delle RM sono stati rilevati i pazienti trattati, i dosaggi medi, la durata media di terapia: Tigecilina: 13 pazienti-111.74mg/ die-21.2 giorni/paziente. Linezolid: 5 pazienti-1125.00mg/ die-18.8gg/ paziente. Fosfomicina: 3 pazienti-13.3mg/die-5.8gg/paziente. Ceftolozano-Tazobactam: 1 paziente, dosaggio 9g/die, infezione da Pseudomonas Aeruginosa MDR, terapia di 14giorni (offlabel autorizzato). Dai dati microbiologici si evince che il numero di pazienti resistenti alla terapia antibiotica di I-II linea è aumentato del 27%. La levofloxacina è il farmaco con maggior numero di resistenze (84%) nel 2017. Non sono state riscontrate resistenze evidenti ai farmaci di nuova generazione. Dagli audit clinici è emerso che il paziente FC presenta numerose complessità e necessita di una terapia antibiotica con più farmaci: la terapia standard prevede Cefalosporine di III generazione con Aminoglicosidi, le riacutizzazioni necessitano di Carbapenemici. L'uso dei farmaci di nuova generazione viene effettivamente riservato solo a situazioni di multi-resistenza documentata. Una ADR segnalata nell'uso di Tigeciclina: aggravamento pancreatite, sospensione della terapia al 3° giorno dopo ulteriore innalzamento degli indici (lipasi pancreatica).
Conclusione. I dati riscontrati sono di alto interesse sia per l'appropriatezza che per l'analisi delle resistenze nel CRFC; ulteriori approfondimenti e correlazioni potrebbero scaturire dalla cartella elettronica e dall'introduzione di uno strumento informatizzato specifico per la farmacoutilizzazione, così da monitorare costantemente le prescrizioni, i dosaggi, la durata, lo switch, la de-escalation.

[P:450]
NUOVE OPPORTUNITÀ NELLA TERAPIA DELL'EMOFILIA: IL RUOLO DEL FARMACISTA OSPEDALIERO
Mariagiuseppa Vinciguerra [1], Dario Concetto Pistritto [1], Laura Potenza [2], Laura Sereni [2], Anna Malesci [2]
[1] Università Degli Studi Di Milano, Milano
[2] ASST Sette Laghi - Ospedale Di Circolo, Varese
Introduzione. Alla luce della recente riorganizzazione del Sistema Sanitario Lombardo, le farmacie ospedaliere hanno preso in carico la gestione dei pazienti emofilici afferenti al territorio di competenza. Recentemente sono stati introdotti nella terapia antiemofilica nuovi fattori ricombinanti (NFR) con farmacocinetica orientata ad una riduzione di somministrazione del farmaco, sia in termini quantitativi che di frequenza. L'obiettivo del nostro lavoro è stato quello di osservare il reale impiego nella comune pratica clinica dei nuovi farmaci, sia in termini di miglioramento della qualità di vita del paziente che di impatto economico sul SSN.
Materiali/metodi. Sono stati valutati i piani terapeutici di tutti i pazienti emofilici in carico alla nostra ASST suddivisi per tipologia, età e regime posologico (on demand o in profilassi) e sono stati rilevati i dati delle singole dispensazioni.
Risultati. Ad oggi risultano in carico 22 pazienti: 21 affetti da emofilia A e 1 da emofilia B. Tra questi 10 hanno una diagnosi di emofilia lieve/moderata e risultano in trattamento on demand, 4 con fattore di origine plasmatica (età media: 45 anni) e 6 con fattori ricombinanti di vecchia generazione (FRVG) (età media: 27 anni). I pazienti affetti da emofilia grave risultano invece in profilassi, 1 con fattore di origine plasmatica (età: 38 anni), 4 con FRVG e 7 con NFR (età media: 27 anni). Tra i 7 pazienti che sono shiftati a NFR solo 3 hanno ridotto il numero di somministrazioni: in due casi ne è conseguita una riduzione dei costi mensili (8.280,00 euro al mese), nel terzo (il paziente con emofilia B), invece, ne è conseguito un aumento (23.640,00 euro al mese) dovuto al maggior costo del NFR. Gli altri 4, invece, hanno mantenuto lo stesso numero di infusioni; in 3 di questi casi a fronte di uno shift fatto senza monitoraggio della farmacocinetica.
Conclusione. I primi pazienti a beneficiare degli NFR sono stati quelli più giovani, in fase di crescita e quindi di adattamento posologico. I primi dati sembrano quindi evidenziare una mancata diminuzione del numero di somministrazioni e quindi del risparmio economico atteso. Il passaggio agli NFR per i pazienti della nostra ASST non si è comunque ancora concluso. I dati fanno supporre inopportuno lo shift sui NFR dei pazienti on demand per un aumento di spesa; a questo proposito potrebbe esser valutata la presenza del fattore plasmatico presso una rete di Pronto Soccorso regionale con la diminuzione delle scorte al domicilio.

MANAGEMENT E ORGANIZZAZIONE

[P:451]
WHO CARE ABOUT WAREHOUSE MANAGEMENT YET? IMPLEMENTATION OF OPERATIONAL TOOLS IN OUR REALITY
Fulvio Ferrante, Giacomo Polito, Michela Ferraro
Ospedale F. Spaziani, Frosinone
Introduzione. Tra le attività fondamentali del farmacista ospedaliero e territoriale è presente la gestione del magazzino farmaceutico. Una parte consistente del tempo viene impiegato alla sua gestione al fine di garantire la continuità della fornitura dei prodotti, evitando rotture di stock e contenendo il livello delle giacenze riducendo il capitale investito. Un corretto efficientamento e controllo del magazzino deve essere posto tra i primi obiettivi da perseguire per un Servizio Farmaceutico. L'utilizzo di strumenti ed indicatori di processo standardizzati atti a raggiungere tali obiettivi risulta essere una scelta necessaria e condivisibile.
Materiali/metodi. Dal nostro sistema gestionale sono stati estrapolati i dati relativi ai farmaci, ai prodotti dietetici ed ai prodotti per la nutrizione artificiale. È stato creato un database in Excel nel quale sono stati inseriti i dati relativi ai consumi mensili per singolo prodotto. Ogni prodotto è stato suddiviso ulteriormente in tre sottocategorie, prendendo come discriminante i tempi di consegna medi del fornitore. Per ogni prodotto sono state applicate delle formule matematiche per il calcolo dei seguenti parametri: Scorta di sicurezza; Scorta minima; Scorta massima; Punto di riordino. È stata eseguita un'analisi ABC dei prodotti suddividendoli in tre categorie a seconda del loro "peso" economico e quantitativo. È stata successivamente effettuata un'analisi ABC incrociata valutando congiuntamente due profili di valutazione: Il valore del consumo per ogni articolo in un tempo stabilito negli ultimi sei mesi, rapportato con il suo valore economico attuale calcolato tramite la sua giacenza attuale.
Risultati. Le analisi hanno corretto le anomalie presenti in molti prodotti del magazzino e si è ottenuto un miglioramento nei processi di approvvigionamento evitando di avere scorte superiori o insufficienti al reale fabbisogno. L'analisi ABC incrociata riveste un'utilità elevata permettendo di seguire costantemente l'evoluzione del ciclo di vita dei codici Aziendali. Tale metodiche hanno portato ad una standardizzazione dei processi di approvvigionamento, ad una conseguente ottimizzazione dei costi e migliore efficienza del sistema, dando la possibilità di una migliore allocazione delle risorse disponibili.
Conclusione. L'utilizzo di strumenti e l'applicazione di metodologie con comprovata validità tecnica hanno consentito una migliore gestione del magazzino farmaceutico. Un continuo processo di miglioramento risulta essere una strada necessaria da percorrere valutando ulteriori implementazioni degli strumenti adoperati quali la valutazione dei dispositivi medici e materiale specialistico attualmente in uso presso la struttura ed integrando l'ubicazione del prodotto, al fine di effettuare una successiva valutazione spaziale del magazzino, ottimizzare gli spazi disponibili e standardizzare i percorsi dei carrelli per i reparti.

[P:452]
ACCORDI OUTCOME-BASED IN ONCOLOGIA: RISPARMI EFFETTIVI E POTENZIALI IN DUE REALTÀ AZIENDALI
Alessia Pisterna [1], Marianna Morani [2], Massimo Boni [1], Federico Gatti [3], Luca Varalli [3], Claudio Jommi [2]
[1] SCDO Farmacia Ospedaliera, Azienda Ospedaliero-Universitaria Maggiore Della Carità, Novara
[2] Dipartimento Di Scienze Del Farmaco Università Del Piemonte Orientale, Novara
[3] Servizio Farmaceutico, ASST Ovest Milanese, Legnano, Milano
Introduzione. Scopo del presente lavoro è analizzare in due