



Azienda Ospedaliera  
Istituto Ortopedico  
**GAETANO PINI**

Deliberazione n.	545	Del 4 DIC. 2015	Atti 147/2015
------------------	-----	-----------------	---------------

**Oggetto: Approvazione del protocollo d'intesa tra ASL Milano e le Strutture Sanitarie del territorio per l'attuazione di un percorso condiviso per la presa in carico del paziente con diagnosi di malattia rara ai sensi della DGR IX/1185/2013.**

**IL DIRETTORE GENERALE**

**Richiamati:**

- la DGR n. IX/1185 del 20.12.2013 avente ad oggetto *"Determinazioni in ordine alla gestione del Servizio Socio Sanitario Regionale per l'esercizio 2014"* ed in particolare l'allegato 3, punto 3.3.5 *"Malattie rare: percorso condiviso ASL/AO di presa in carico"* con cui Regione Lombardia ha previsto la definizione e condivisione tra la ASL e l'Azienda Ospedaliera di un percorso che faciliti l'accesso alle terapie appropriate dei pazienti affetti dalle malattie rare, esenti, superando un "percorso ad ostacoli" ed uniformando il processo sul territorio regionale;
- la DGR n. 2989 del 23.12.2014 *"Determinazioni in ordine alla gestione del Servizio Socio Sanitario Regionale per l'esercizio 2015"* (c.d. Regole di Sistema 2015), nello specifico il punto 4.2.2 dell'allegato B, che prevede l'adozione, nell'anno 2015, del Protocollo attuativo del percorso condiviso tra le ASL, le Strutture sanitarie di competenza territoriale ed i Presidi di rete, conformemente alle specifiche disposizioni dettate in materia dalla DG Salute;

**vista** la bozza di documento dal titolo *"Protocollo d'intesa tra ASL Milano e le Strutture Sanitarie del territorio per l'attuazione di un percorso condiviso per la presa in carico del paziente con diagnosi di malattia rara ai sensi della DGR IX/1185/2013"* trasmesso dalla ASL Milano alla Direzione Sanitaria dell'Azienda Ospedaliera giusta nota mail del 3 novembre 2015;

**preso atto** della conformità dei contenuti della predetta bozza alle specifiche indicazioni regionali così come validati dal Direttore del Dipartimento di Reumatologia prof. Pier Luigi Meroni, dal Referente aziendale della Malattie Rare dott.ssa Francesca Ingegnoli e dal Dirigente S.C. Farmacia dott.ssa Valeria Massari, la cui versione definitiva viene allegata quale parte integrante e sostanziale del presente provvedimento;

**ritenuto di procedere** alla formale approvazione del Protocollo di che trattasi;

**visti** i pareri favorevoli espressi, per quanto di rispettiva competenza, dal Direttore Amministrativo e dal Direttore Sanitario, ai sensi degli artt. 3 e 3bis del D.Lgs. 502/92 s.m.i.;



**Azienda Ospedaliera  
Istituto Ortopedico  
GAETANO PINI**

Deliberazione-n.	545	Def- 4 DIC. 2015	Atti 147/2015
------------------	-----	------------------	---------------

**DELIBERA**

per le motivazioni indicate in premessa che qui si intendono integralmente trascritte:

- 1) di approvare il Protocollo d'Intesa e relativi allegati, tra la ASL Milano e le Strutture Sanitarie del territorio per l'attuazione di un percorso condiviso per la presa in carico del paziente con diagnosi di malattia rara ai sensi della DGR IX/1185/2013, allegato quale parte integrante e sostanziale del presente provvedimento;
- 2) di prendere atto che il presente provvedimento non comporta oneri a carico dell'Azienda Ospedaliera;
- 3) di provvedere alla trasmissione della presente deliberazione alla ASL Milano per i successivi adempimenti di competenza;
- 4) di dichiarare il presente provvedimento non soggetto a controllo preventivo, ai sensi dell'art. 17, comma 4, della L.R. n. 33/2009 (come modificato dalla L.R. 23/2015);
- 5) di disporre la pubblicazione della presente deliberazione, dando atto che la stessa è immediatamente esecutiva, ai sensi dell'art. 17, comma 6, della L.R. n. 33/2009 (come modificato dalla L.R. 23/2015).

IL DIRETTORE GENERALE  
(dott. Amedeo Tropicano)

CON I PARERI FAVOREVOLI DI COMPETENZA DEL  
DIRETTORE AMMINISTRATIVO  
(dott. Renato Malaguti)

DIRETTORE SANITARIO  
(dott. Nunzio A. Baccino)

**S.C. Affari Generali e Legali**

Si attesta la regolarità amministrativa e tecnica del presente provvedimento  
Responsabile del Procedimento: dott.ssa Marilena Moretti *Marilena Moretti*  
Pratica trattata da: sig.ra Maria Cianchella *MC*



**Azienda Ospedaliera  
Istituto Ortopedico  
GAETANO PINI**

Deliberazione.n.	545	Del	4 DIC. 2015	Atti	147/2015
------------------	-----	-----	-------------	------	----------

**RELAZIONE DI PUBBLICAZIONE**

Si certifica che la presente deliberazione é pubblicata all'Albo Pretorio online di questa Azienda Ospedaliera, per rimanervi affissa per quindici giorni consecutivi.

Milano, li 4 DIC. 2015.

U.O. AFFARI GENERALI E LEGALI  
L'ASSISTENTE AMMINISTRATIVO  
(Maria Cianchella)

L'atto si compone di n. 15 (quindici) pagine, di cui n. 12 (dodici) pagine di allegati parte integrante.

**PROTOCOLLO D'INTESA TRA ASL MILANO  
E LE STRUTTURE SANITARIE DEL TERRITORIO  
PER L'ATTUAZIONE DI UN PERCORSO CONDIVISO  
PER LA PRESA IN CARICO DEL PAZIENTE CON DIAGNOSI DI MALATTIA RARA  
AI SENSI DELLA DGR IX/1185/2013**

In coerenza con le disposizioni di regione Lombardia di cui alla DGR 1185/13 punto 3.3.5 e alla DGR 2989/14 punto 4.2.2. allegato B, con la finalità di promuovere un modello condiviso per la gestione del paziente affetto da malattie rare sul territorio, si valida il seguente percorso elaborato in base alle indicazioni della DG Salute e del Centro di Coordinamento Malattie Rare IRCCS Istituto Mario Negri.

**Analisi di contesto**

I pazienti affetti dalle malattie rare esenti incluse nell' apposito elenco ministeriale hanno diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo per i farmaci necessari alla cura della malattia, come da DGR n° VII/7328/01 .

Sono quindi forniti gratuitamente:

- i farmaci di classe A, H e C (compreso galenici magistrali). Sono a pagamento nelle farmacie territoriali i farmaci classificati CNN: essi possono essere però forniti gratuitamente dagli ospedali con rendicontazione in tipologia 10 di File F se si tratta di farmaci classificati Osp e forniti gratuitamente dalle ASL se si tratta di farmaci vendibili al pubblico
- i farmaci di cui alla legge 648/96 e relativi allegati
- i farmaci registrati all'estero che possono essere forniti solo per le indicazioni registrate nei paesi di provenienza (D.M. 31/01/2006 "modificazioni del Decreto 11/02/1997, modalità di importazione di specialità medicinali registrate all'estero").
- i farmaci off-label (per quanto previsto dallo specifico Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA) o nell'ambito di un utilizzo off-label individuale) secondo le norme in seguito citate

**Percorso del paziente**

Il Medico che ha il dubbio che un proprio paziente sia affetto da malattia rara indirizza il paziente verso un Presidio della Rete Malattie rare (abbreviato in Presidio RMR).

Lo Specialista che opera nel Presidio della RMR autorizzato per la specifica malattia, definita la diagnosi di malattia rara, provvede:

1. alla redazione della Scheda per la Prescrizione dei Farmaci (detta anche Piano Terapeutico) valida al massimo per un anno e rinnovabile dal medico specialista del Presidio. La redazione del Piano Terapeutico nella specifica piattaforma online dedicata alle malattie rare consente l' invio automatico contestuale dello stesso alla ASL di appartenenza. Attualmente la compilazione della scheda avviene sia in cartaceo che in questa piattaforma. I Presidi di Rete dovranno porre in atto il massimo sforzo perché il processo avvenga esclusivamente in maniera informatizzata. In caso vi sia un non funzionamento del sistema informatico, il piano terapeutico potrà essere eccezionalmente compilato direttamente su scheda cartacea
2. Alla stampa di due copie della Scheda destinate una per il paziente e una per il Medico di Medicina Generale (MMG) da consegnare al Medico a cura del paziente
3. A redigere la certificazione ai fini della esenzione

## **Erogazione farmaci: caratteristiche generali**

- Per la prescrizione di **farmaci di fascia A e C** (compreso i galenici), una copia della Scheda redatta dal Presidio RMR va consegnata dal paziente al Medico curante (Medico di Medicina Generale o Pediatra di Libera Scelta). Un'altra copia, qualora sia redatta in cartaceo, va consegnata al Distretto dell' ASL di residenza dell'assistito.  
L'erogazione di questi farmaci in regime di esenzione avverrà **per il tramite delle farmacie territoriali, su ricetta SSN** redatta dal Medico di Medicina Generale.  
Non sussistono quindi criticità legate a residenze del paziente diverse dall' Asl ove ha sede il presidio di rete.  
Qualora un paziente, affetto da malattia rara, residente o domiciliato a Milano, si rechi presso un MMG (o presso la sua ASL ) con un piano terapeutico redatto da un Presidio di rete sito in altra ASL lombarda o fuori Regione, il MMG può effettuare comunque la prescrizione su ricettario SSN (e in caso di ASL, la fornitura diretta). Deve essere comunque verificato che:
  1. La malattia rara sia riconosciuta tale anche in Regione Lombardia (altre Regioni hanno allargato l'elenco delle malattie rare)
  2. Il Presidio prescrittore sia riconosciuto come Presidio autorizzato per quella malattia rara in quella Regione (in internet digitando la regione interessata e la dicitura Presidio Malattie rare si accede velocemente ai relativi elenchi regionali)
- Il paziente riceve specifici farmaci direttamente dal Presidio RMR, così da valutarne l'efficacia e la tollerabilità. Essere in grado di garantire l'erogazione di terapie per le malattie rare individuate è un requisito fondamentale per ciascun Presidio RMR; il mancato inizio di terapia presso il Presidio RMR può esporre l'assistito al rischio di rimanere privo della necessaria assistenza. **I farmaci erogati dal Presidio RMR sono:**
  - A. farmaci di **fascia H** in uso al domicilio o a livello ambulatoriale,
  - B. farmaci classificati in **A/PHT**
  - C. farmaci **registrati all'estero** che si possono somministrare a domicilio (orali e sottocutanei),
  - D. farmaci caratterizzati da particolari **difficoltà di reperimento e/o di gestione**
  - E. farmaci inseriti nei Registri Farmaci sottoposti a **Monitoraggio** predisposti da AIFA.,
  - F. farmaci inseriti nella **Legge 648/96** (Tipologia 3 del File F): anche se classificati in fascia A,
  - G. farmaci **off label** – si rimanda a questo proposito allo specifico allegato 1 "Percorso di valutazione di un trattamento con farmaco off label per pazienti affetti da malattia rara" elaborato dal gruppo di lavoro Regione Lombardia con il relativo modulo richiesta per la fornitura di farmaci off label

Si ricorda che i PDTA condivisi a livello regionale sono disponibili sul sito web della Rete Regionale Malattie Rare nella sezione dedicata <http://malattierare.marionegri.it>

Per ridurre gli accessi del paziente al Presidio RMR è consentita, in caso di dispensazione da parte del Presidio RMR (o suo delegato – come riportato in seguito), la consegna di farmaco per un fabbisogno sino a 90 giorni.

Considerato che anche nei PDTA elaborati e condivisi a livello regionale sono inclusi parafarmaci, dispositivi medici o prodotti dietetici non concedibili in base alla normativa vigente, ma comunque indispensabili ed insostituibili per il paziente, è istituita dal 2003 presso la ASL di Milano una specifica Commissione atta a valutare la possibile erogazione da parte della ASL dei prodotti sopra citati.



Dati i costi di molte terapie per malati rari, con riferimento anche a quanto citato nei documenti regionali, è necessario che sia al più presto istituita una dote economica che segua il paziente e non una spesa che grava solo sulla singola struttura erogatrice del farmaco.

Il Presidio RMR deve garantire puntuale ed adeguata informazione circa la diagnosi e i trattamenti prescritti dal Presidio di RMR al Medico di Medicina Generale o Pediatra di Libera Scelta .

[www.AlboPretorionline.it](http://www.AlboPretorionline.it) 0417215

## **Erogazione farmaci in caso di mobilità del paziente**

### **1) Paziente residente in ASL Milano proveniente da Presidio RMR sito in altra ASL della Lombardia**

Qualora il paziente non risieda nella stessa ASL ove è ubicato il Presidio RMR, il paziente (o il suo legale rappresentante), in subordine al parere favorevole dello Specialista di riferimento del Presidio RMR e tranne le eccezioni in seguito citate, può richiedere di eseguire l'infusione di terapie complesse che comportano assistenza ospedaliera in una struttura ospedaliera territoriale idonea più vicina alla sua residenza..

Il Presidio RMR decide a propria discrezionalità – in base al caso clinico – se possa essere accolta la richiesta del paziente di effettuare il trattamento in un ospedale più vicino alla sua residenza.

Inoltre non può essere accolta la richiesta del paziente di ricevere la terapia infusiva in luogo più vicino alla propria residenza, qualora esso sia in terapia con:

- terapie off-label che vanno erogate solo dal Presidio RMR che ha in carico il paziente.
- farmaci inseriti nella Legge 648/96 (Tipologia 3 del File F) anche se classificati in fascia A.

In tutti questi casi la competenza erogativa è unicamente del Presidio RMR che ha in carico il paziente.

Al di fuori delle casistiche sopra citate, il Presidio RMR prende contatto diretto con i clinici di una struttura ospedaliera idonea più vicina alla residenza del paziente e concorda le modalità di accesso, garantendo la continuità di cura ed informando il Nucleo Rete Malattie Rare dell'ASL di residenza.

L'Ospedale che effettuerà la terapia infusioneale porrà in essere gli interventi pianificati per garantire l'esecuzione della terapia.

Per quanto riguarda invece la fornitura dei farmaci non infusioneali, questa deve essere garantita dal Presidio RMR che ha in cura il paziente.

A tale proposito le Regole 2014 specificano "per ridurre gli accessi del paziente si deroga dai 60 giorni previsti per la rendicontazione in File F, secondo quanto disposto dalla DGR n° X\1185 del 20\12\2013, consentendo anche la copertura sino a 90 giorni, al fine di far coincidere la visita di controllo con la fornitura \ erogazione della terapia".

## **2) Paziente residente in ASL Milano proveniente da Presidio RMR sito in altra regione**

Per il paziente, seguito da Presidio RMR extraregionale e previo accordo con il Presidio stesso, che richiede di ricevere i farmaci in prossimità del proprio domicilio, l'ASL assicura l'erogazione delle terapie non disponibili presso le farmacie al pubblico, dei farmaci off-label e l'importazione dei farmaci esteri eventualmente prescritti, sia non registrati che carenti sul territorio nazionale. La ASL garantisce la continuità assistenziale tramite farmaci disponibili in commercio, a bassa criticità di utilizzo, evitando duplicazioni di visite e controlli ospedalieri che si traducono in un aumento ingiustificato dei costi complessivi per il SSR.

L'ASL può valutare sia la possibilità di una fornitura diretta che per il tramite dei Presidi di RMR regionali (preferibilmente ove presenti), ospedali territoriali, IRCCS o Fondazioni presenti sul proprio territorio di competenza. L'allocazione presso strutture ospedaliere va però riservata alle terapie infusionali e/o alle terapie che richiedono un complesso monitoraggio.

Nel caso di erogazione di farmaci off-label, oltre al Piano terapeutico, il prescrittore deve sottoscrivere la dichiarazione allegata al presente Protocollo (allegato 1), al fine di dichiarare che l'utilizzo del farmaco off-label avviene in coerenza con quanto al riguardo previsto dal presente Protocollo. Qualora si tratti di una terapia infusionale con farmaco off-label o comunque sia richiesto un complesso monitoraggio della terapia condotta, la somministrazione tramite Presidi di RMR regionali, ospedali territoriali, IRCCS o Fondazioni, prevede che questi siano contattati dal Centro RMR extraregionale per definire e concordare la scelta terapeutica. In caso contrario, il paziente resta in carico al Presidio di rete extraregionale.

Qualora la terapia con farmaco off-label riguardi una condizione così rara da non rendere realizzabili studi clinici di fase seconda, in analogia a quanto effettuato dai Presidi di Rete regionale, l'ASL erogatrice (o il Presidio di RMR lombardo/struttura ospedaliera che effettua la terapia) invierà al Centro di Coordinamento lombardo, Istituto Mario Negri, una richiesta di parere in merito.

Qualora sia necessaria una specifica assistenza ospedaliera per l'assistito lombardo seguito da Presidi RMR fuori regione, l'ASL di competenza esercita un ruolo di coordinamento e di facilitazione all'accesso delle cure, coordina gli interventi, fornisce al clinico di competenza del Centro erogatore tutta la documentazione necessaria e gli indispensabili contatti con lo specialista del Presidio RMR che ha in carico il paziente.



### **3) Paziente non residente in ASL Milano seguito da Presidio RMR sito in ASL Milano**

In analogia a quanto sopra citato:

- a) I pazienti provenienti da altre regioni e seguiti presso i Presidi di ASL Milano riceveranno il Piano Terapeutico e faranno poi riferimento alla loro ASL per la fornitura dei farmaci secondo le modalità di cui al paragrafo 2.
- b) Il paziente lombardo seguito da Presidio RMR sito in ASL Milano, può essere preso in carico da una struttura ospedaliera territoriale più vicina al proprio domicilio solo per la somministrazione di terapie infusionali croniche da effettuare in ambiente ospedaliero.

L'allegato 2 del presente percorso riporta uno schema esemplificativo delle modalità di fornitura dei farmaci destinati al paziente affetto da malattia rara, a seconda del rapporto esistente tra residenza del paziente e dislocazione del Presidio RMR che lo segue

## ALLEGATO 1

### PERCORSO DI VALUTAZIONE DI UN TRATTAMENTO CON FARMACO OFF LABEL PER PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIA RARA

Modalità operative

L'obiettivo del presente documento è quello di dettagliare il percorso operativo di valutazione di una prescrizione off label di farmaco nel caso di paziente affetto da malattia rara, in attuazione alle Regole di Sistema 2015 di Regione Lombardia (DGR n. X/2989 del 23/12/2014).

Secondo tale documento, in casi selezionati, quando non siano disponibili o si siano già dimostrati inefficaci farmaci in indicazione, lo Specialista che opera nel presidio di riferimento per una determinata malattia rara può proporre l'impiego di un farmaco al di fuori dell'indicazioni autorizzate riportate nel Riassunto delle caratteristiche del prodotto (RCP). Tale uso "off label" può attenersi all'impiego del farmaco secondo una diversa indicazione terapeutica, un diverso dosaggio, una diversa modalità di somministrazione, un diverso gruppo di pazienti, rispetto a quelli per cui ha ottenuto l'Autorizzazione all'Immissione in Commercio (AIC) e riportati in RCP.

Trattandosi di percorso gestionale che prevede l'interfaccia dei Presidi per le Malattie Rare con tutte le realtà territoriali lombarde, vengono fornite indicazioni operative dettagliate, al fine di adottare un comportamento comune su tutto il territorio regionale. In quest'ottica i moduli e format proposti nel presente percorso sono da preferirsi. Tuttavia, qualora nei presidi regionali siano in vigore modulistiche simili con analogo contenuto, queste possono essere ritenute valide.

#### Prescrizione

Lo Specialista del Presidio per la malattia rara in questione avanza richiesta al Servizio di Farmacia Ospedaliera cui afferisce utilizzando il modello allegato (allegato 1\A).

La Farmacia Ospedaliera esegue le opportune verifiche sull'indicazione proposta, seguendo lo schema sottostante:

IL FARMACO	FONTE INFORMATIVA/ LEGISLAZIONE	ESITO
1. E' IN INDICAZIONE?	RCP (Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto)	
NO ↓	SI →	PT File F Tip. 10
2. E' INSERITO NELLA LEGGE 648/96?	<a href="http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/normativa-di-riferimento-sperimentazione-clinica">http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/normativa-di-riferimento-sperimentazione-clinica</a>	
NO ↓	SI →	PT File F Tip. 3
3. E' INSERITO NELLE LISTE OFF LABEL CONSOLIDATE DELLA LEGGE 648/96?	<a href="http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/normativa-di-riferimento-sperimentazione-clinica">http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/normativa-di-riferimento-sperimentazione-clinica</a>	
NO ↓	SI →	PT File F Tip. 3
4. E' PREVISTO DAL PDTA DI REGIONE LOMBARDIA?	<a href="http://malattierare.marionegri.it/content/view/123">http://malattierare.marionegri.it/content/view/123</a>	
NO ↓	SI →	PT File F Tip. 10
5. SONO DISPONIBILI STUDI DI	Ricerca bibliografica (esempio):	

FASE II O SUPERIORI CON RISULTATI FAVOREVOLI?	– Ricerca Medline <a href="http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/advanced">http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/advanced</a>	
NO ↓	SI →	Format (all. B) PT File F Tip. 10
6. RICHIEDERE PARERE AL CENTRO DI COORDINAMENTO	Documentazione via e-mail a <a href="mailto:raredis@marionegri.it">raredis@marionegri.it</a> : – PT – Relazione clinica – Format di valutazione della richiesta (all. B) – Eventuale letteratura reperita	
	Parere favorevole	
	SI →	PT File F Tip. 10

Legenda: PT: Piano Terapeutico; PDTA: Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale

www.AlboPretorionline.it 041215

**Allegato 1a (su carta intestata del Presidio RMR prescrittore)**  
**RICHIESTA DI FORNITURA DI FARMACI PER INDICAZIONI NON REGISTRATE "Off Label" PER MALATTIA RARA**  
(Codice esenzione \_\_\_\_\_)

Al Direttore del Servizio Farmacia AO/ IRCCS \_\_\_\_\_

Il sottoscritto \_\_\_\_\_ Qualifica \_\_\_\_\_

Unità operativa \_\_\_\_\_ CDC \_\_\_\_\_

e-mail \_\_\_\_\_ Telefono \_\_\_\_\_

**Richiede per il paziente:**

Cognome e nome \_\_\_\_\_ Data di nascita \_\_\_\_/\_\_\_\_/\_\_\_\_  
Codice fiscale \_\_\_\_\_ ASL di Appartenenza \_\_\_\_\_  
Patologia \_\_\_\_\_ Codice esenzione \_\_\_\_\_

L'acquisto del Principio attivo \_\_\_\_\_ Specialità \_\_\_\_\_

Dosaggio richiesto (giornaliero, per ciclo di trattamento,  
per singolo trattamento):

Giornaliero \_\_\_\_\_  
Per ciclo di trattamento \_\_\_\_\_  
Per singolo trattamento \_\_\_\_\_

Durata del trattamento \_\_\_\_\_ Inizio terapia ☐ Proseguimento terapia ☐

Per la seguente indicazione terapeutica \_\_\_\_\_

Da somministrare in regime di: ☐ ricovero ordinario ☐ day hospital ☐ ambulatorio

Costo del farmaco per trattamento (Euro): \_\_\_\_\_

**Il richiedente ed il Responsabile di Unità Operativa dichiarano:**

- che il trattamento con il medicinale prodotto industrialmente per un'indicazione o via di somministrazione o modalità di somministrazione o di utilizzo diversa da quella autorizzata, avviene sotto propria diretta responsabilità in quanto si ritiene, in base a dati documentabili, che il paziente non possa essere utilmente trattato con medicinali per i quali sia già approvata quella indicazione terapeutica o quella via o modalità di somministrazione;
- che tale impiego è \_\_\_ / non è \_\_\_ supportato da dati favorevoli di sperimentazioni cliniche non inferiori alla fase II (Legge 244/07- Legge finanziaria 2008) di cui si allega copia;
- che verrà acquisito il consenso informato del paziente e che lo stesso sarà conservato in cartella clinica (secondo quanto previsto dalla Legge n.94 del 08.04.98);
- che non è stato possibile l'accesso al farmaco gratuitamente ai sensi del DM 08/05/2003 "uso compassionevole".

Il Responsabile di Unità Operativa è consapevole che tale richiesta non comporterà un automatico incremento del budget complessivo assegnato per l'anno in corso.

Il richiedente ed il Responsabile di Unità operativa si impegnano, inoltre, a fornire una relazione dettagliata sull'andamento clinico del caso al Servizio di Farmacia ad un mese dall'inizio del trattamento e ad intervalli regolari, a seconda del tipo di malattia e trattamento, con cadenza almeno semestrale.

**Documentazione da allegare alla domanda:**

- copia della documentazione scientifica
- relazione dettagliata sul paziente che comprende patologia, razionale d'uso possibili effetti indesiderati. Va esplicitata l'assenza di valida alternativa terapeutica e va riportato il beneficio atteso in termini clinicamente rilevanti.
- relazione su esito del trattamento di eventuali pazienti analoghi per i quali sia stato già autorizzato l'uso.

Il Responsabile dell'Unità Operativa

(timbro e firma)

(nome in stampatello)

Il Medico Richiedente

(timbro e firma)

(nome in stampatello)

# VALUTAZIONE IN MERITO ALLA RICHIESTA DI UTILIZZO OFF LABEL PER MALATTIA RARA

FARMACO/SPECIALITA'	
UO/ CENTRO	
INIZIALI DEL PAZIENTE	
DATA DI NASCITA	
ASL	
CODICE MALATTIA RARA	
INDICAZIONE	
MEDICO RICHIEDENTE	
DATA	
COSTI	

## 1. Si riscontra assenza di alternative terapeutiche?

X	SI	Specificare
	NO	

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

X	SI	Elencare ed allegare gli studi a supporto di tale uso off-label
	NO	Richiedere il parere al Centro Regionale per le malattie rare elencando la eventuale letteratura reperita

1. \_\_\_\_\_
2. \_\_\_\_\_

## 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



## Allegato 2

PMR = Presidio Malattie Rare

EROGAZIONE TERAPIA



	Pz di Milano in carico a PMR sito in Milano (PMR - MI)	Pz di Milano in carico a PMR sito in regione Lombardia (PMR RL)	Pz di Milano in carico a PMR sito fuori regione Lombardia
<b>Farmaco fascia A</b>	Farmacia, ricetta SSR	Farmacia, ricetta SSR	Farmacia, ricetta SSR
<b>Farmaco fascia C</b>	Farmacia, ricetta SSR	Farmacia, ricetta SSR	Farmacia, ricetta SSR
<b>Galenico</b>	Farmacia, ricetta SSR	Farmacia, ricetta SSR	Farmacia, ricetta SSR
<b>Farmaco fascia H</b>	Erogazione diretta da PMR - MI	Erogazione diretta da PMR-RL (per farmaco EV possibile terapia previo accordo, in Struttura di Milano)	Erogazione ASL MI (per farmaco EV o farmaco critico possibile terapia, previo accordo, in Struttura di Milano)
<b>Farmaco monitoraggio AIFA</b>	Erogazione diretta da PMR - MI	Erogazione diretta da PMR-RL (per farmaco EV possibile terapia previo accordo, in Struttura di Milano)	Erogazione ASL MI (per farmaco EV o farmaco critico possibile terapia, previo accordo, in Struttura di Milano)
<b>Farmaco estero</b>	Erogazione diretta da PMR - MI	Erogazione diretta da PMR-RL (per farmaco EV possibile terapia, previo accordo, in Struttura di Milano)	Erogazione ASL MI (per farmaco EV o farmaco critico possibile terapia, previo accordo, in Struttura di Milano)
<b>Farmaco 648 /96</b>	Erogazione diretta da PMR-MI	Erogazione diretta da PMR-RL	Erogazione ASL MI (per farmaco EV o farmaco critico possibile terapia, previo accordo, in Struttura di Milano)
<b>Farmaco A / PHT</b>	Erogazione diretta da PMR - MI	Erogazione diretta da PMR-RL (per farmaco EV possibile terapia, previo accordo, in Struttura di Milano)	Erogazione ASL MI (per farmaco EV o farmaco critico possibile presa in carico, previo accordo, in Struttura di Milano)
<b>Farmaco off label</b>	Erogazione diretta da PMR-MI	Erogazione diretta da PMR-RL	Erogazione ASL MI (per farmaco EV o farmaco critico possibile terapia, previo accordo, in struttura di Milano) Necessaria compilazione dichiarazione *Allegato 2 del protocollo
<b>Dispositivi / Cosmetica / Integratori</b>	ASL MI se parere favorevole Commissione Indispensabili	ASL MI se parere favorevole Commissione Indispensabili	ASL MI se parere favorevole Commissione Indispensabili

EROGAZIONE TERAPIA ↓	Pz lombardo in carico a PMR-MI	Pz extra regione in carico a PMR-MI
Farmaco fascia A	Farmacia, ricetta SSR	Farmacia, ricetta SSR
Farmaco fascia C	Farmacia, ricetta SSR	Farmacia, ricetta SSR
Galenico	Farmacia, ricetta SSR	Farmacia, ricetta SSR
Farmaco fascia H	Erogazione diretta da diretta PMR -MI (per farmaco EV possibile terapia, previo accordo, in Struttura lombarda )	ASL residenza Pz. Per farmaco EV o farmaco critico terapia in Struttura extraregionale
Farmaco monitoraggio AIFA	Erogazione diretta da diretta PMR -MI (per farmaco EV possibile terapia, previo accordo, in Struttura lombarda )	ASL residenza Pz. Per farmaco EV o farmaco critico terapia in Struttura extraregionale
Farmaco estero	Erogazione diretta da diretta PMR -MI (per farmaco EV possibile terapia, previo accordo, in Struttura lombarda )	ASL residenza Pz. Per farmaco EV o farmaco critico terapia in Struttura extraregionale
Farmaco 648 /96	Erogazione diretta da PMR-MI	ASL residenza Pz. Per farmaco EV o farmaco critico terapia in Struttura extraregionale
Farmaco A / PHT	Erogazione diretta da diretta PMR-MI (per farmaco EV possibile terapia, previo accordo, in Struttura lombarda )	ASL residenza Pz. Per farmaco EV o farmaco critico terapia in Struttura extraregionale
Farmaco off label	Erogazione diretta da PMR-MI	ASL residenza Pz. Per farmaco EV o farmaco critico terapia in Struttura extraregionale

SERVIZIO FARMACIA

Responsabile Farmacia Dott. G. PINI

*Valeria Bressi*

AZIENDA OSPEDALIERA  
 ISTITUTO ORTOPEDICO G. PINI  
 Tel. 02.582991  
 Dott.ssa Ingegnoli Francesca Anna  
 (Reumatologia)  
 C.F. NGGFNC71E49B0190

AZIENDA OSPEDALIERA  
 ISTITUTO ORTOPEDICO G. PINI  
 Dott. G. PINI  
 C.F. NGGFNC71E49B0190  
 C.F. NGGFNC71E49B0190