- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

Risultati. I pazienti trattati presso i Distretti considerati sono rispettivamente 344 (2011) e 155 (2012), prevalentemente maschi di età compresa tra 40 e 50 anni. Oltre il 40 per cento appartiene al Distretto di Sassari. Le prescrizioni riguardano principalmente PEG-Interferon e ribavirina; quest'ultima non viene prescritta al 10 per cento circa dei pazienti. La durata media dei trattamenti è di sei mesi. Il numero di abbandoni è più elevato nel Distretto di Sassari, nel quale si riscontra il più alto numero casi trattati. Il costo medio mensile dei trattamenti è compreso tra 890 e 1.000 euro per paziente ed è rendicontato nel Flusso F.
Conclusioni. L'impatto economico dei trattamenti correlati alle infezioni da HCV-RNA è rilevante ed è ipotizzabile un ulteriore incremento della spesa con l'introduzione in terapia dei nuovi inibitori delle proteasi. Da questi ultimi ci si attende una più rapida eradicazione del virus con riduzione della durata dei trattamenti e delle sospensioni della terapia. L'efficiente sistema di distribuzione diretta e l'acquisto dei medicinali mediante gare centralizzate ha consentito al SSR un adeguato controllo e monitoraggio della spesa farmaceutica, finalizzato a garantire l'accesso alle cure ed alla riduzione dei costi determinati dalla progressione dell'infezione.

MALATTIE RARE

L'APPROCCIO MULTIDISCIPLINARE AI PAZIENTI AFFETTI DA SLA: DALLA VALUTAZIONE ECONOMICA DELLE RISORSE DISPONIBILI ALL'OTTIMIZZAZIONE DEL PERCORSO SOCIO-ASSISTENZIALE.

Carmen Candido - ASL TO5, S.C. Assistenza Farmaceutica Territoriale, FARMACISTA DIRIGENTE
Vittoria Grano - ASL TO5, S.C. Assistenza Farmaceutica Territoriale, FARMACISTA DIRIGENTE
Giovanna Nota - ASL TO5, S.C. Assistenza Farmaceutica Territoriale, FARMACISTA BORSISTA
Ester Tolomei - ASL TO5, S.C. Assistenza Farmaceutica Territoriale, DIRETTORE
Simona Bortolotto - ASL TO5, S.C. Neurologia, DIRIGENTE MEDICO

Introduzione. Negli ultimi anni si è assistito nel territorio dell'ASL TO5 ad un aumento dell'incidenza della sclerosi laterale amiotrofica (SLA), malattia rara comportante una progressiva paralisi della muscolatura scheletrica ed incapacità ad 1-3 anni dall'esordio di muoversi, parlare, deglutire, respirare. La presa in carico della persona con SLA è multidimensionale, prevedendo l'intervento di diversi specialisti: comporta scelte che richiedono un'informazione adeguata al malato e alla famiglia su quando ricorrere ad una nutrizione artificiale o alla ventilazione meccanica invasiva e non.Nell'ambito della collaborazione al progetto aziendale coordinato da un medico specialista in neurologia operativo nell'ASL TO5 in cui è prevista la creazione di un ambulatorio dedicato alle malattie rare ad interessamento neurologico, la farmacia territoriale ha effettuato una valutazione economica dei pazienti affetti da Sclerosi Laterale Amiotrofica residenti nel proprio territorio, al fine di una migliore utilizzazione delle risorse economiche all'interno dell'organizzazione di un percorso assistenziale volto alla presa in carico di tale tipologia di pazienti.

Materiali e metodi. Per l'anno 2011 sono stati valutati i costi dei farmaci in convenzione, dei farmaci in Distribuzione per Conto (DPC), dell'assistenza integrativa, dell'ossigenoterapia (OLT) e della Nutrizione Enterale Domiciliare (NED). I dati relativi ai farmaci e all'assistenza integrativa sono stati ricavati dalla lettura delle ricette del SSN mentre i dati relativi ad alimenti e all'ossigeno liquido sono stati ricavati dagli ordini effettuati per la fornitura diretta.

Risultati. Nel 2011 i pazienti affetti da SLA residenti nell'ASL TO5 e presi in carico con malattia "attiva" (inserimento nel Registro Regionale per la SLA) erano 39, di cui 14 con NED e 7 con OLT. Per quanto riguarda la farmaceutica territoriale (esclusa quindi la spesa sostenuta per i farmaci erogati in distribuzione diretta dalla farmacia ospedaliera aziendale)la spesa totale è stata di € 51.351,75, di cui il costo maggiore è rappresentato dalla NED (€ 3.8150,20 pari al 74% della spesa totale), seguita dall'ossigenoterapia e dai farmaci in convenzione (entrambi rappresentano circa l'11%).

Conclusioni. Nell'ottica del miglioramento della qualità di vita dei pazienti affetti da SLA e dell'assistenza sociosanitaria si è cercato di ottimizzare l'utilizzo delle risorse attraverso l'avvio e la definizione di un percorso multispecialistico preferenziale dedicato alla cura e alla prevenzione delle complicanze di tale malattia.

SCLEROSI LATERARE AMIOTROFICA E SCLEROSI MULTIPLA: CAPSULE DI UBIDECARENONE E 4-AMINOPIRIDINA DEL LABORATORIO DI GALENICA DI SANTA MARIA NUOVA

Irene Ruffino - Azienda Sanitaria di Firenze, Farmaco, Responsabile Laboratorio Galenica Ospedale Santa Maria Nuova
Teresa Brocca - Azienda Sanitaria di Firenze, Farmaco, Direttore Dipartimento del Farmaco
Francesco Mandò Tacconi - Azienda Sanitaria di Firenze, Farmaco, Farmacista Ospedaliero
Daniela Libero - Università degli Studi di Firenze, Facoltà di Farmacia, Tirocinate - Ospedale Santa Maria Nuova
Laura Consalvi - Università degli Studi di Firenze, Scuola di Specializzazione Farmacia Ospedaliera, Farmacista Tirocinate - Ospedale Santa Maria Nuova
Francesco Lucci - Università degli studi di Firenze, Facoltà di Medicina e Chirurgia, Studente

Introduzione. Il Laboratorio di Galenica sta allestendo capsule di ubidecarenone per il trattamento della sclerosi laterale amiotrofica e capsule di 4-aminopiridina per il trattamento della sclerosi multipla.

Materiali e metodi. La sclerosi laterale amiotrofica è una malattia rara che porta a degenerazione dei motoneuroni del midollo spinale, del tronco encefalico e della corteccia motoria, causando paralisi totale. L'eziologia della SLA è multifattoriale e ci sono evidenze che l'eccitotossicità neuronale giochi un ruolo importante nella patogenesi. Nella SLA sono inoltre presenti evidenze di danno mitocondriale e da radicali liberi. Attualmente il riluzolo è l'unico farmaco che ha dimostrato una certa efficacia nel rallentare la progressione. L'ubidecarenone viene associato spesso nella terapia del paziente con SLA. Si ritiene che l'ubidecarenone, potente antiossidante che permette il trasferimento degli elettroni nella fosforilazione ossidativi, agisca migliorando la funzione mitocondriale dei neuroni. Le formulazione sono le seguenti: Ubidecarenone 500, 400 e 100 mg. La sclerosi multipla è una malattia cronica della sostanza bianca del SNC. La patogenesi è caratterizzata da un processo di demielinizzazione in più aree, con formazione di lesioni caratteristiche, ovvero le placche. L'eziologia è multifattoriale, alla base della perdita della mielina c'è un meccanismo di danno autoimmune. Il quadro clinico presenta un'ampia variabilità interindividuale, tuttavia all'esordio i

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

sintomi più comuni sono disturbi visivi, disturbi della sensibilità come formicolii e parestesie, fatica e debolezza. La 4-aminopiridina blocca i canali del potassio e facilita la trasmissione. Le evidenze finora disponibili indicano che la 4-aminopiridina migliora la sensibilità al calore, i disturbi visivi, la deambulazione e la fatica. Non essendo disponibili specialità medicinali a base di 4 – aminopirimidina né in Italia né all'estero, il Laboratorio allestisce le seguenti formulazioni: 4 - aminopiridina 4 mg - 8 mg – 16 mg.

Risultati. Per il momento sono state già allestite 1.900 capsule nel 2011, 2.700 capsule nel 2012 e 1.450 nel primo trimestre del 2013 di Ubidecanrenone destinate ai pazienti affetti da SLA. Per quanto riguarda i pazienti affetti da sclerosi multipla sono state allestite 300 capsule nel 2011, 900 nel 2012 e 250 nel primo semestre del 2013.

Conclusioni. Nei prossimi mesi, vista la campagna informativa in atto e i risultati clinici ottenuti ci aspettiamo un notevole incremento della produzione.

Bibliografia. Guida alle Malattie Rare edizione 2004 Hippocrates edizioni scientifiche,Bertram G. Katzung, Farmacologia generale e clinica, Padova, Piccin, 2006, Irene Ruffino, Ars Galenica, Acta Medica 2011.

MALATTIE RARE: L'IMPEGNO PROFESSIONALE DEL LABORATORIO DI GALENICA DI SANTA MARIA NUOVA PER AUMENTARE LA COMPLIANCE DEL PAZIENTE

Irene Ruffino - Azienda Sanitaria di Firenze, Farmaco, Responsabile Laboratorio Galenica Ospedale Santa Maria Nuova
Teresa Brocca - Azienda Sanitaria di Firenze, Farmaco, Direttore Dipartimento del Farmaco
Francesco Mandò Tacconi - Azienda Sanitaria di Firenze, Farmaco, Farmacista Ospedaliero
Irene Relli - Università degli Studi di Firenze, Facoltà di Farmacia, Tirocinante Ospedale Santa Maria Nuova
Maria Chiara Burla - Università degli Studi di Firenze, Scuola di Specializzazione Farmacia Ospedaliera, Farmacista Tirocinante - Ospedale Santa Maria Nuova
Francesco Lucci - Università degli studi di Firenze, Facoltà di Medicina e Chirurgia, Studente

Introduzione. Il Laboratorio di Santa Maria Nuova è impegnato da molti anni a favore di quei "pazienti fragili", affetti da malattie rare o patologie gravi, nell' allestire in maniera efficace e sicura farmaci a dosaggi personalizzati o non reperibili in commercio.

Materiali e metodi. Ma un allestimento effettuato attenendosi scrupolosamente alle norme di buona preparazione potrebbe non essere sufficiente per supportare questo tipo di pazienti. E' necessario rendere le terapie quanto più semplici possibile ai fini della somministrazione e migliorare la compliance del paziente. Per conseguire tali obiettivi, sono stati scelti accuratamente colori delle capsule diversificati e invitanti sia per evitare eventuali errori di somministrazione quando siamo di fronte a una politerapia, sia per invogliare i piccoli pazienti ad assumerle. Con lo stesso criterio sono state scelte capsule di dimensioni particolarmente contenute per agevolare il piccolo paziente a deglutirle autonomamente senza costringere il genitore ad aprirle e sciogliere il contenuto in acqua, agevolando una corretta somministrazione ed evitando la perdita del contenuto e il cattivo sapore della sospensione ottenuta. Anche la fisionomia delle etichette riveste un'importanza non trascurabile: vengono utilizzate etichette allegre e vivaci, molto colorate, per i piccoli pazienti e un fiore rosa o blu per gli adulti. In tal modo, l'esperienza dell'assunzione del farmaco (spesso da assumere più volte al giorno) risulta meno spiacevole e più sicura.

Risultati. In quest'ottica di sicurezza e gradevolezza, l'attività del Laboratorio di Galenica è cresciuta notevolmente negli ultimi anni. Dal 2010 al 2012 tale attività è aumentata nella misura del 81% per le preparazioni per uso dermatologico, del 119% per le preparazione di soluzioni o sospensioni e del 508% per le capsule che per la maggioranza rapprendano la produzione per le malattie rare.

Conclusioni. Le preparazioni allestite vengono impiegate per varie patologie, ad esempio vari dosaggi di idrocortisone cps per il trattamento dell'insufficienza cortico surrenale e la malattia multipla, 4-aminopiridina cps per la SLA, mexiletina cps per il Morbo di Steinert, sulfadiazima cps per la toxoplasmosi congenita e l'acido micofenolico per la malattia autimmune vascolite del S.N.C, che stanno portando a dei buoni risultati per i pazienti. Preparzioni allestite nel pieno e convinto rispetto di quel filo di continuità che lega il Laboratorio ad ogni singolo paziente, alla sua famiglia e al Clinico

Bibliografia. Guida alle Malattie Rare edizione 2004 Hippocrates edizioni scientifiche,Bertram G. Katzung, Farmacologia generale e clinica, Padova, Piccin, 2006, Irene Ruffino, Ars Galenica, Acta Medica 2011.

EPIDEMIOLOGIA E APPROCCI TERAPEUTICI NELL'IPERTENSIONE POLMONARE, NELLA FIBROSI POLMONARE E NELLA SCLEROSI SISTEMICA PROGRESSIVA: I PAZIENTI DELL'ASLTO5

Emanuela Peila - ASLTO5, FARMACIA OSPEDALIERA, DIRIGENTE FARMACISTA
Filomena Mastropierro - ASLTO5, Farmacia Ospedaliera, Dirigente Farmacista
Lorena Poggio - ASLTO5, Farmacia Ospedaliera, Direttore

Introduzione.
L'ipertensione polmonare primitiva, la fibrosi polmonare idiopatica e la sclerosi sistemica progressiva sono malattie rare esentate solo in Regione Piemonte con i seguenti codici: RG0121, RHG011, RM0091. I farmaci per il trattamento di queste patologie rare e per le complicanze vengono dispensati dai Servizi Farmaceutici delle ASR ai sensi della Circolare regionale dell'11/10/2005 e s.m.i e del DM 279/2001. I farmaci cardine per il trattamento di queste patologie sono i nuovi inibitori delle endoteline, sottoposti a monitoraggio regionale ai sensi della DGR n.132 del 18/02/11. Obiettivo è studiare l'epidemiologia di queste malattie rare nell'ASLTO5,

l'approccio terapeutico e l'aderenza ai nuovi farmaci al fine di migliorare l'efficacia clinica, diminuire l'insorgenza di effetti collaterali e ottimizzare i costi.

Materiali e metodi.
La terapia per le malattie rare viene dispensata per due mesi e registrata sul File F, strumento di monitoraggio epidemiologico e clinico, di rendicontazione economica e di attività. Dal File F sono stati estrapolati tutti farmaci dispensati a pazienti affetti da malattia rara. L'aderenza terapeutica è stata calcolata utilizzando il metodo del "pharmacy refill": giorni di terapia dispensata/(giorni tra la prima e l'ultima dispensazione + 60 giorni)X100

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

Risultati.
Al 31/05/13, la Farmacia Ospedaliera dell'ASLTO5 dispensa farmaci in distribuzione diretta a 1.770 pazienti, di cui 324 affetti da malattia rara (18%) per circa 2.070.000€ (25% della spesa aziendale per la distribuzione diretta). 22 pazienti sono affetti da sclerosi sistemica progressiva, 4 pazienti da ipertensione polmonare primitiva, 8 pazienti da fibrosi polmonare idiopatica: 34 pazienti di cui 24 femmine e 10 maschi. 13 pazienti sono trattati con bosentan, 2 con ambrisentan, 3 con sildenafil e 1 con tadalafil, per una spesa di 190.000€ nei primi 5 mesi del 2013. A 2 pazienti vengono prescritti in combinazione un inibitore delle endoteline e un inibitore delle fosfodiesterasi 5. L'aderenza alla terapia con inibitori delle endoteline è risultata >95% per il 61% dei pazienti, <40% per il 30%. Le prescrizioni provengono soprattutto dall'Ospedale S.Giovanni Battista di Torino (16 pazienti) e dal San Luigi Gonzaga di Orbassano (9 pazienti). Vengono prescritti farmaci non attinenti alla patologia rara esentata al 20% dei pazienti, nonostante le direttive nazionali.

Conclusioni.
Il monitoraggio dell'aderenza e dell'appropriatezza delle terapie per le malattie rare è essenziale per una gestione costo-efficace delle stesse e per garantire il miglior trattamento possibile rispettando i vincoli economici-finanziari.Obiettivo futuro è di sottoporre periodicamente un questionario ai pazienti per monitorare e migliorare l'aderenza alla terapia, la presa in carico e la valutazione della qualità di vita.

MONITORAGGIO DELL'USO DI ANTIBIOTICI A LARGO SPETTRO NELLA FIBROSI CISTICA: DATI DI FARMACOUTILIZZAZIONE NELLA ASL EX FOGGIA3

Maria Grazia Morgese - Università degli studi di bari "Aldo Moro", Farmaceutico Asl Foggia, specializzando
Roberta Ricciardelli - Asl Foggia, Farmaceutico, dirigente farmacista
Aida Colecchia - Asl Foggia, Farmaceutico, dirigente farmacista
Renato Lombardi - Asl Foggia, Farmaceutico, dirigente farmacista
Ada Foglia - Asl Foggia, Farmaceutico, dirigente farmacista

Introduzione. La fibrosi cistica è una patologia di tipo autosomico recessivo causata da un deficit nel gene che codifica per il "cystic fibrosis transmembrane conductance regulator" noto come CFTR. Il coinvolgimento a livello respiratorio è responsabile dell'esito precoce nella malattia, infatti le esacerbazioni delle infezioni polmonari sono la principale causa di morbilità e mortalità nei pazienti. La terapia antibiotica a largo spettro, pur rimanendo solo di tipo sintomatico, ha consentito di limitare le esacerbazioni delle infezioni polmonari consentendo di migliorare la qualità di vita dei pazienti. In particolare, l'utilizzo di antibiotici per via inalatoria rappresenta un notevole vantaggio nella terapia quotidiana dei soggetti affetti da fibrosi cistica, tuttavia studi clinici che confrontino questa via di somministrazione verso quella endovenosa sono ancora necessari. Obiettivo di questo studio è stato valutare i dati di farmacoutilizzazione di antibiotici a largo spettro nella ASL ex FG3 al fine di monitorare gli andamenti prescrittivi e le vie di somministrazione maggiormente utilizzate, confrontandoli con quanto riportato nella letteratura scientifica nazionale ed internazionale.

Materiali e metodi. Attraverso l'ausilio del database locale sono stati raccolti i dati relativi alle confezioni totali di antibiotici dispensate ai pazienti affetti da fibrosi cistica afferenti alla Asl ex FG3 nell'anno solare 2012 e attraverso il nuovo sistema informatico regionale Edotto sono state convertite in DDD totali. I dati di letteratura sono stati ricercati attraverso MEDLINE o il database Cochrane.

Risultati. Dall'analisi dei dati si è riscontrato che tra gli antibiotici inalatori quelli maggiormente prescritti sono stati il colistimetato di sodio (polv. sol. neb.) con DDD totali pari a 1770 con costo complessivo di € 74.473 e la tobramicina (sol. neb.) con DDD totali pari a 1624 e costo complessivo di € 33.685; mentre tra quelli endovena il più usato è stato il meropenem triidrato (sol. iniett. ev) con DDD totali pari a 640 e costo di € 8193. L'azitromicina diidrato (cpr) è risultato l'antibiotico orale più prescritto con DDD totali pari a 592 per un costo totale di € 1.098.

Conclusioni. Valutando gli andamenti prescrittivi si evince che gli antibiotici per via inalatoria sono quelli maggiormente utilizzati e tale dato appare in linea con quanto riportato nella letteratura scientifica consultata. In ogni modo appare cruciale l'attenzione del farmacista nel monitoraggio delle prescrizioni e dell'appropriatezza prescrittiva anche in un'ottica di migliore razionalizzazione delle risorse.

TRATTAMENTO DELLA SINDROME DA IPERIGE: NUOVE STRATEGIE DI ASSISTENZA FARMACEUTICA

Luigi Argento - ASP AGRIGENTO, DIPARTIMENTO FARMACO, FARMACISTA OSPEDALIERO
Cinzia Lombardo - ASP AGRIGENTO, DIPARTIMENTO DEL FARMACO, FARMACISTA OSPEDALIERO

Introduzione. E' pervenuta nel 2013 al servizio di Camera Bianca del P.O. di Agrigento da parte della Medicina di Base Distrettuale, per un paziente pediatrico, la richiesta di trattamento di sindrome da iperIgE con sovra infezione da mollusco contagioso, ossia di una immunodeficienza primaria di origine ereditaria, caratterizzata da manifestazione cliniche eterogenee accomunate da una particolare suscettibilità alle infezioni micotiche e da stafilococco. La strategia terapeutica in questi casi è rivolta alla prevenzione e gestione delle infezioni. L'assunzione di antibiotici sistemici e farmaci antifungini possono impedire le infezioni più severe. Per quanto riguarda le lesioni cutanee si effettuano incisioni e drenaggi per gli ascessi cutanei, oltre ai trattamenti topici con antibatterici, emollienti e corticosteroidi.

Materiali e metodi. In questo ultimo caso, il laboratorio di galenica clinica ha preso in carico il paziente per ciò che concerne la realizzazione di una preparato galenico-magistrale, ossia una pasta con proprietà antibiotiche, idratanti e lenitive. Preparazione: le due polveri setacciate vengono miscelate in mortaio, quindi levigate con glicerolo a piccole porzioni. Alla fine si aggiunge l'acqua fino a omogeneità. In alternativa le polveri possono essere levigate con la minima quantità di miscela acqua-glicerolo che poi viene diluita con la restante miscela. Per evitare la precipitazione della fase dispersa, si aumenta la viscosità dell'eccipiente facendo rigonfiare in acqua circa lo 0.5% di carbossimetilcellulosa.Successivamente viene effettuata una miscela in parti uguali tra la preparazione allestita e gentamicina crema 0.1%.

Risultati. L'aspetto più significativo è stato la presa in carico globale della piccola paziente: infatti sino a tale momento la assistita si rivolgeva all'esterno (farmacia privata) per l'acquisto dei farmaci necessari alle proprie cure. Grazie a un lavoro di intersettoriale tra medicina di base, servizio di camera bianca e servizio di assistenza sociale, si è constatato che la patologia trattata è annoverabile tra le malattie rare,

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

secondo la seguente classificazione: immunopatia-rara; immunodeficienza-primaria; sindrome iper-IgE-autosomica-dominante(RCG160).

Conclusioni. A questo punto è stato contattata la A.O.U.Policlinico-Messina avente in carico il paziente, ed è stata richiesta la compilazione della scheda prescrizione farmaci di cui al D.A. del 19/11/2009, considerato che la struttura è anche presidio riconosciuto di cui al decreto n. 36438/01, ossia facente parte della Rete nazionale delle malattie rare. Quanto sopra rispecchia a pieno lo spirito della L.R.05/09, che ha previsto un modello sanitario organizzativo su base integrata, dove le risorse umane, le professionalità e i servizi si integrano con l'unico fine di garantire una migliore e completa assistenza sanitaria al cittadino.

TRATTAMENTO DELL'IPERTENSIONE ARTERIOSA POLMONARE: L'ESPERIENZA DELL'AZIENDA SANITARIA LOCALE DI MATERA (ASM)

Emilia Stigliano - UNIVERSITA' DEGLI STUDI DI BARI-ALDO MORO, SCUOLA DI SPECIALIZZAZIONE IN FARMACIA OSPEDALIERA, SPECIALIZZANDA
Maria Teresa Cascione - P.O.MATERA, U.O.FARMACIA OSPEDALIERA, FARMACISTA DIRIGENTE
Angela Carlucci - P.O.MATERA, U.O.FARMACIA OSPEDALIERA, DIRETTORE U.O.FARMACIA OSPEDALIERA

Introduzione. L'ipertensione arteriosa polmonare (IPA) è una malattia respiratoria rara, progressiva, provocata da un forte aumento della pressione nelle arterie polmonari che porta allo scompenso del cuore destro. Può essere idiopatica, familiare o associata ad altre patologie (malattie del connettivo, cardiopatie congenite, infezione da HIV). I sintomi principali sono affanno, vertigini e stanchezza, i segni clinici rappresentati da estremità fredde e cianotiche, edemi, epatomegalia. E' una malattia, purtroppo, incurabile. Oggi tuttavia sono disponibili diverse terapie in grado di apportare benefici e migliorare la qualità di vita. I più recenti farmaci disponibili sono gli antagonisti dell'endotelina-1 (ET-1), tra i più potenti vasocostrittori prodotti dall'organismo, e gli inibitori delle fosfodiesterasi (PDE-5) che indirettamente potenziano l'effetto dell'ossido nitrico di vasodilatazione e inibizione della proliferazione cellulare.

Materiali e metodi. Presso l'U.O. Farmacia dell'Ospedale di Matera (ASM), abbiamo 10 pazienti affetti da IPA in trattamento con Tracleer (Bosentan), inbitore dell'ET-1 e/o Revatio (Sildenafil), inibitore del PDE-5. Sono stati raccolti i piani terapeutici per rilevare l'iter terapeutico, la posologia prescritta e le eventuali associazioni.

Risultati. Dei 10 pazienti, 6 sono in terapia con Tracleer, assunto alla dose iniziale di 62,5 mg x 2/die, seguita dalla dose di mantenimento di 125 mg x 2/die; 3 pazienti vengono trattati con i due farmaci in associazione: Tracleer con stesso schema posologico e Revatio 20 mg x 3/die. Singolare è il caso di una paziente di soli 3 anni affetta da IPA familiare in trattamento con Revatio sin dalla nascita: la posologia iniziale di 4 mg x 4/die è stata aumentata gradualmente fino a raggiungere 8 mg x 4/die. Da scheda tecnica il farmaco è autorizzato per pazienti pediatrici di età compresa tra 1 e 17 anni, con dose raccomandata di 10 mg x 3/die nei pazienti di peso inferiore a 20 kg; si osserva l'uso off-label del farmaco in riferimento sia ad età che dosaggio. In questi pazienti si osserva, ad oggi, un rallentamento della progressione della malattia e un buon riscontro in termini di sopravvivenza, emodinamica e capacità di esercizio.

Conclusioni. Negli ultimi anni con l'introduzione di trattamenti più specifici abbiamo assistito ad una significativa evoluzione nella strategia terapeutica dell'ipertensione arteriosa polmonare che ha determinato un miglioramento dei sintomi dei pazienti e rallentato la progressione della malattia. E' necessario che continui l'importante impegno internazionale di ricerca per migliorare le aspettative di vita, rivolgendo uno sguardo attento alla popolazione pediatrica, alle complicanze infettivologiche e alla qualità della vita.

ANALISI STATISTICA DESCRITTIVA DELLA SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA (SLA) NELL'ASL NAPOLI 3 SUD

Maurizio Capuozzo - ASL Napoli 3 Sud, Farmacia, Dirigente Farmacista
Eduardo Nava - ASL Napoli 3 Sud, Farmacia, Direttore di Dipartimento
Stefania Cascone - ASL Napoli 3 Sud, Farmacia, Responsabile U.O.S. Area Nord
Claudia Cinque - ASL Napoli 1 Centro, Farmacista
Roberta Citrigno - Farmacista
Maria Capuozzo - Facoltà di Farmacia "Federico II" Napoli, Farmacologia,

Introduzione. La SLA è una malattia rara neurodegenerativa che colpisce i motoneuroni, le cellule nervose cerebrali e del midollo spinale che permettono i movimenti della muscolatura scheletrica. Il deficit muscolare coinvolge tutto l'organismo necessitando dell'assistenza di un team multidisciplinare che interviene nelle varie fasi della malattia. I dati di letteratura disponibili ci indicano: un tasso di prevalenza in netto aumento (da 2/100.000 abitanti di qualche decennio fa a 5-6/100.000 oggi); un esordio con età media intorno ai 65 anni; tassi di incidenza che presentano generalmente valori maggiori nel sesso maschile. Attualmente l'unica opportunità terapeutica è il riluzolo, che non ha effetto curativo ma viene utilizzato come da indicazione terapeutica registrata per il "prolungamento della sopravvivenza senza tracheostomia nei pazienti con SLA". Obiettivo di questo studio è valutare il tasso di prevalenza della SLA sul nostro territorio e fare un confronto con i vari dati di letteratura per età media di esordio e sesso nell'anno 2012.

Materiali e metodi. Al 01/01/2012, l'ASL Napoli3Sud comprendeva 12 Distretti Sanitari (non ancora inglobato il Distretto di Portici), una superficie di 680 Km2, 56 comuni ed una popolazione di 1.012.304 abitanti di cui 491.406 Maschi (M) e 520.898 Femmine (F)(ISTAT). Per l'estrazione dei dati ci siamo avvalsi della procedura informatica aziendale EDF (Erogazione Diretta Farmaci), incrociandoli con i dati delle UOAR distrettuali e con i dati del progetto Aziendale "Progetto Caregiver–Sostegno alle famiglie" per malati di SLA.

Risultati. Sul territorio dell'ASL Napoli 3 sud, nell'anno 2012, sono risultati 69 pazienti affetti da SLA, di cui 39 M e 30 F. La prevalenza dunque è di 6,8/100.000 in totale. Nello specifico risulta una prevalenza di 7,9/100.000 nei M e di 5,7/100.000 nelle F. L'età media dei pazienti affetti da SLA è risultata di 61,8 anni, il paziente più giovane aveva 26 anni mentre il più anziano 81. Abbiamo riscontrato nell'anno studiato ben 14 nuovi casi che avevano un'età media di esordio della SLA di 51 anni.

Conclusioni. Fra le malattie riconosciute come "rare", la SLA è senza dubbio una di quelle con più alta incidenza. Il

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

tasso di prevalenza che emerge da questo studio è leggermente più alto rispetto ai dati di letteratura mentre l'età media di esordio dei nuovi casi è nettamente più bassa. Il tutto si spiega probabilmente con il continuo miglioramento delle tecniche di diagnosi, una superiore qualità delle cure ed un maggiore ricorso alla tracheostomia. Si conferma invece il tasso di prevalenza superiore negli M rispetto alle F.

TERAPIA DOMICILIARE E MALATTIE RARE: PRIMA ESPERIENZA IN CAMPANIA

Costantino Corvino - asl napoli 1 centro ospedale santa maria di loreto nuovo, u.o. farmacia, farmacista dirigente
Mariella Odierno - asl napoli 1 centro ospedale santa maria di loreto nuovo, u.o. farmacia, direttore farmacia
Eliana Morrone - asl napoli 1 centro ospedale santa maria di loreto nuovo, u.o. farmacia, farmacista volontaria

Introduzione. Le malattie rare sono delle patologie che si trovano con prevalenza molto bassa nella popolazione. Si tratta di forme croniche, spesso degenerative, disabilitanti e condizionanti in termini psicologici e sociali. In Italia con la creazione della rete nazionale delle malattie rare è stato istituito un elenco composto di 284 patologie rare racchiuse in 47 gruppi, tra queste vi sono la malattia di Gaucher e la malattia di Fabry, entrambe da accumulo lisosomiale. Il trattamento di queste due patologie consiste in una terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine, con imiglucerasi e velaglucerasi alfa per la malattia di Gaucher e con agalsidasi beta per la malattia di Fabry. Il P.O.S.Maria di Loreto Nuovo è stato il primo presidio ospedaliero della campania ad aderire al programma TUTOR.

Materiali e metodi. Il programma offre un infermiere, che avendo ricevuto una specifica formazione, assiste il paziente a domicilio, garantendo un servizio di terapia domiciliare di elevata professionalità. Il farmacista ospedaliero si occupa dell'approvvigionamento del farmaco e predispone la fornitura per il paziente relativa ad ogni prescrizione. Il farmaco viene confezionato in box refrigerati ed una rerte di distribuzione (Caregiving Italia, Allianz Assistance Healthcare) dotata di copertura assicurativa si occupa del prelievo del farmaco dalla farmacia ospedaliera e della consegna al domicilio del paziente.

Risultati. Il P.O.S.Maria di Loreto Nuovo ha aderito al programma a partire da luglio 2012. Durante questo periodo sono stati arruolati 5 pazienti affetti dalla malattia di Gaucher (di cui 2 in trattamento con velaglucerasi alfa-VPRIV 400 e 3 con imiglucerasi-CEREZYME 400) di età compresa tra 16 e 65 anni e 2 pazienti affetti dalla malattia di Fabry (in trattamento con agalsidasi beta-FABRAZYME) di 32 e 54 anni. Sono state dispensate 90 fiale di VPRIV 400, 54 fiale di CEREZYME 400 e 52 fiale di FABRAZYME per un costo totale di 351381,18 euro rimborsati mediante il File F. L'impegno settimanale per il farmacista è di circa 30 minuti a paziente.

Conclusioni. Il P.O.S.Maria di Loreto Nuovo, da anni centro di riferimento per il trattamento delle malattie rare della A.S.L.Napoli1Centro, consapevole dell'importanza di garantire a questo tipo di malati la continuità assistenziale ha deciso di aderire al programma TUTOR consentendo in questo modo di sottoporsi al trattamento nell'ambiente a loro abituale, di aumentare la flessibilità degli orari della terapia infusionale, di seguire un normale programma scolastico, di organizzare piu' facilmente le attività sociali e professionali e evitare di impiegare tempi nei trasferimenti.

SISTEMA INFORMATIVO REGIONALE PER LE MALATTIE RARE: INDAGINE EPIDEMIOLOGICA PRESSO L'AZIENDA USL DI RAVENNA

Rossella Lucia Ermelinda Gentile - Ospedale S.Maria delle Croci - AUSL di Ravenna, Farmacia Interna, Farmacista
Giovanna Rametta - Ospedale S.Maria delle Croci - AUSL di Ravenna, Farmacia Interna, farmacista
Roberta Consenti - Ospedale S.Maria delle Croci - AUSL di Ravenna, Farmacia Interna, Farmacista
Wanda Gianessi - AUSL di Ravenna, Programma Farmaco, Direttore

Introduzione. Nel rispetto delle indicazioni contenute nel D.M. n.279/01, dal 2007 la Regione Emilia Romagna (RER) ha attivato e sviluppato il Sistema Informativo per le malattie rare (SIMR), che dall'aprile 2011 collega Centri Autorizzati alla diagnosi e cura con Distretti sanitari e Servizi Farmaceutici delle AUSL, attraverso l'informatizzazione della prescrizione. Traendo spunto dall'ultimo report regionale relativo all'analisi dei dati di attività 2007-2012 estrapolati dal SIMR, sono state effettuate analoghe valutazioni nell'Azienda USL di Ravenna. Sono stati presi in esame i pazienti affetti da malattia rara (MR) con erogazioni di materiali presso il nostro Servizio nell'anno 2012.

Materiali e metodi. Incrociando i dati estrapolati dal gestionale di Distribuzione Diretta, quelli forniti dal gestionale di magazzino e le informazioni desunte dal SIMR, sono stati valutati: • tipologia delle MR più frequentemente certificate; • rapporto tra prescrizioni redatte da centri autorizzati regionali ed extra-RER; • incidenza delle MR per sesso ed età; • incidenza delle MR sui costi di assistenza farmaceutica.

Risultati. I pazienti individuati sono risultati 144, con distribuzione analoga fra i sessi (maschi 51%, femmine 49%) ed affetti da 53 MR diverse, così distribuite: • 42% classe RC (Ghiandole Endocrine, Nutrizione, Metabolismo e Disturbi Immunitari); • 24% classe RF (Sistema Nervoso e Organi di Senso); • 10% classe RD (Sangue e organi ematopoietici); • 10% classe RN (Malformazioni congenite); •14% altri: RJ (Apparato genito-urinario); RG (Sistema circolatorio); RL (Pelle e tessuto sottocutaneo); RM (Sistema osteomuscolare e tessuto connettivo); RB (Tumori). Le prescrizioni dei Centri regionali autorizzati costituiscono l'83% del totale, mentre le prescrizioni extra RER rappresentano il 17%, testimonianza della bassa mobilità passiva regionale. La distribuzione delle MR per fasce di età risulta la seguente: 29% tra 0-19anni , 30% 20-39 anni e 28% 40-59 anni; più bassa è l'incidenza dei casi negli over 60 (13%). Le MR che hanno pesato maggiormente sulla spesa farmaceutica sono risultate: Glicogenosi tipo II (39%), Emoglobinuria parossistica notturna (31%) ed Emofilia (17%).

Conclusioni. L'indagine ha permesso di tracciare un quadro più chiaro delle MR presso la nostra Azienda USL, costituendo il presupposto per un'attività continua di monitoraggio che il Servizio di Farmacia intende perseguire anche in futuro, in linea con le numerose iniziative in ambito Regionale che, attraverso valutazioni epidemiologiche, mirano a migliorare l'assistenza sanitaria, facilitando i pazienti nei percorsi di cura.

ANALISI PRESTAZIONI EROGATE AI PAZIENTI CON MALATTIE RARE NEL DISTRETTO

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

DI CASTELLAMMARE DI STABIA DELL'A.S.L. NAPOLI 3 SUD

Pierluigi Federico - A.S.L.NA 3 sud, DIPARTIMENTO FARMACEUTICO, FARMACISTA DIRIGENTE D.S.53
Venere Celotto - A.S.L. NAPOLI 3 SUD, DIPARTIMENTO FARMACEUTICO, RESP.LE U.O. AREA DISTRETTUALE SUD

Introduzione. Secondo il PSN la malattia rara è una patologia o affezione che ha una incidenza variabile da 1:20.000 a 1:200.000 abitanti. Il DM279/2001 disciplina le modalità di esenzione dalla partecipazione al costo delle malattie rare per le correlate prestazioni di assistenza sanitaria incluse nei LEA, in attuazione all'art.5 del DL 124/1998, ed individua specifiche forma di tutela per i soggetti affetti dalle suddette malattie. L'assistito riconosciuto esente ha diritto alle prestazioni di assistenza sanitaria, prescritte con le modalità previste dalla normativa vigente e incluse nei LEA, efficaci ed appropriate per il trattamento ed il monitoraggio della specifica malattia dalla quale è affetto e per la prevenzione degli ulteriori aggravamenti. La popolazione residente nel comune di Castellammare di Stabia è poco meno di 70.000 abitanti ed il paziente affetto da patologia rara afferisce alla Farmacia Distrettuale per l'erogazione dei beni farmaceutici.

Materiali e metodi. Si è proceduto all'estrapolazione dei dati di erogazione relativi all'anno 2012.

Risultati. Su un totale di 17 pazienti le patologie riscontrate sono state: RFG080-Distrofie muscolari (23%); RFG110-Distrofie Retiniche Ereditarie (17%); RCG040-Disturbi del Metabolismo e del Trasporto degli Aminoacidi (12%); RN0710-Sindrome Melas (6%); RF0280-Cheratocono (6%); RC0150-Degenerazione Epatocerebrale (6%); RCG010-Iperaldosteronismi Primitivi (6%); RFG050-Atofie Muscolari Spinali (6%); RN1400-Sindrome di Cockayne (6%); RL0030 Pemfigo (6%); RN0660-Sindrome di Down (6%). Sono state erogate 17 tipologie di prodotti farmaceutici diversi di cui 1 farmaco specifico (indicato nel trattamento di quella specifica malattia rara), 1 farmaco estero e 15 tra medicinali di classe A/C ed altri beni farmaceutici non a carico del SSN. La spesa totale sostenuta nell'anno è stata di circa 20.000 euro di cui il 7% è attribuibile all'erogazione di farmaci specifici.

Conclusioni. Considerando tutte le patologie rare riscontrate, l'incidenza di malattia è di circa 1:4000 abitanti. La maggior parte della spesa è attribuibile all'erogazione di medicinali e beni farmaceutici non a carico del SSN. Tale tipologia di prestazione ha aumentato il livello di assistenza farmaceutica erogata ampliando una rete assistenziale spesso non conosciuta al paziente affetto da malattia rara.

EMOFILIA A: COSTO DEL FATTORE VIII PLASMA-DERIVATO EROGATO DAL SERVIZIO FARMACEUTICO TERRITORIALE DELLA ASL BA

Maristella Mastrangelo - Scuola di Specializzazione in Farmacia Ospedaliera - Bari, Area Farmaceutica Territoriale, Neo specializzanda
Grazia Mazzone - Scuola di Specializzazione in Farmacia Ospedaliera – Bari, Area Farmaceutica Territoriale, Specializzanda
Stefania Antonacci - ASL BA, Area Farmaceutica Territoriale, Dirigente Farmacista
Angela Chielli - ASL BA, Area Farmaceutica Territoriale, Direttore di Farmacia

Introduzione. L'emofilia è una patologia rara con un particolare impatto economico sul SSN. Il trattamento di elezione prevede la somministrazione di Fattore VIII (FVIII) derivato dal plasma umano. Parte di questo farmaco viene reso disponibile grazie al Piano Nazionale che prevede la produzione degli stessi in "Conto Lavorazione" ma, come è noto, gran parte del Fattore VIII prodotto rimane inutilizzato. La Regione Puglia ha previsto la dispensazione di questi farmaci da parte delle Farmacie Territoriali delle ASL. Con questo studio si vuole: 1) stimare l'impatto economico dell'utilizzo dei FVIII plasma-derivati acquistati direttamente dalle Aziende rispetto al Fattore plasmatico ricevuto quale prodotto di "Conto-Lavoro"; 2) valutare le differenze tra i FVIII plasmatici in termini di efficacia e sicurezza seguendo una revisione sistematica della letteratura esistente.

Materiali e metodi. Attraverso la lettura delle prescrizioni pervenute alle Farmacie Territoriali della nostra ASL, abbiamo analizzato i dati di spesa dei diversi FVIII della coagulazione e valutato consultando le banche dati Micromedex, Terap ed altre fonti primarie le differenze tra i diversi prodotti plasma-derivati disponibili sul mercato.

Risultati. Nella ASL sono seguiti 73 pazienti affetti da emofilia A; nel 2012 sono state erogate per gli stessi 1.605.000 UI di FVIII plasma-derivato in Conto Lavorazione e 3.642.000 UI di FVIII plasma-derivato (3 specialità) acquistate direttamente dalle Aziende per un costo complessivo di 2.043.525 Euro. Emerge un ridotto utilizzo del prodotto lavorato a vantaggio dei prodotti commerciali, con il risultato di un esubero di FVIII in Conto Lavorazione a fronte di una rilevante spesa incrementale. Dal confronto delle schede tecniche delle 4 specialità si evince: 1) una sovrapponibile attività emostatica; 2) una differenza nei processi di purificazione ed inattivazione virale, tutti con comprovata e comparabile efficacia; 3) una variabilità per il titolo del Fattore Von Willebrand (FVW), che giustificherebbe una preferenza prescrittiva solo nella Malattia Von Willebrand a favore del farmaco con FVW più elevato. Si può ritenere che almeno 2 su 3 delle specialità suddette siano equivalenti al plasma-derivato proveniente dal Conto-Lavoro.

Conclusioni. Nella gestione del paziente emofilico eleggibile della terapia sostitutiva con FVIII plasmatico, viste le evidenze scientifiche e i dati di consumo nella nostra ASL, sarebbe auspicabile un orientamento prescrittivo a favore del Fattore ottenuto in Conto Lavorazione. Questo al fine di ridurre l'impatto economico di questa categoria di farmaci che rappresentano la terapia a più alto costo attualmente in commercio.

IL FARMACISTA OSPEDALIERO NELLA GESTIONE DELLE MALATTIE RARE: UNO STRUMENTO PER IL CONTROLLO DELLA SPESA E DELL'APPROPRIATEZZA DELLE PRESCRIZIONI

Maurizio Capuozzo - ASL Napoli 3 Sud, Farmaceutico, Dirigente Farmacista
Claudia Cinque - ASL Napoli 1 Centro, Farmacista
Eduardo Nava - ASL Napoli 3 Sud, Farmaceutico, Direttore di Dipartimento
Stefania Cascone - ASL Napoli 3 Sud, Farmaceutico, Responsabile U.O.S. Area Farmaceutica Nord
Alessandro Ottaiano - Istituto Nazionale Tumori di Napoli, Fondazione "G. Pascale", Oncologia Medica B, Dirigente Medico
Maria Capuozzo - Facoltà di Farmacia "Federico II" di Napoli,
Roberta Citrigno - ASL di Cosenza n. 4, Farmacista

Introduzione. Le malattie rare rappresentano un'importante sfida per il Farmacista Ospedaliero. Le patologie riconosciute come rare (D.M. 18 Maggio 2001, n. 279) hanno spesso dei

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

percorsi diagnostici non ben definiti e sono caratterizzate da strumenti terapeutici talvolta incerti. Viste le peculiarità epidemiologiche e terapeutiche di queste patologie, infatti, si rende necessaria una visione multidisciplinare diagnostico-terapeutico-assistenziale in grado di offrire ai pazienti risposte di assistenza efficaci ed efficienti. Esaminato l'anno 2012, ci siamo posti gli obiettivi di quantificare i piani terapeutici, stimare la prevalenza delle patologie, verificare l'appropriatezza delle prescrizioni e valutare l'incidenza sulla spesa farmaceutica al fine di ottimizzare le procedure interne per la gestione delle malattie rare.

Materiali e metodi. Nel gennaio 2012 è stato creato un registro informatico in excel in cui sono stati inseriti tutti i dati dei pazienti affetti da malattia rara afferenti al Distretto di Ercolano (ASL Napoli 3 Sud). Ogni paziente ha il suo foglio excel che, suddiviso in 3 sezioni, comprende: dati anagrafici, diagnosi con relativo codice di esenzione e farmaci prescritti. Accanto all'elenco dei farmaci prescritti è stata inserita una colonna in cui vengono indicati i prezzi relativi alla quantità di farmaco erogato ed una apposita formula che ci permette di ottenere il totale della spesa. L'aggiornamento della scheda informatizzata di ogni singolo paziente viene effettuata contestualmente all'erogazione dei farmaci che, secondo il nostro sistema organizzativo interno, avviene con cadenza trimestrale.

Risultati. Dall'elaborazione dei dati contenuti nel registro è emerso che nel 2012 sono stati trattati 16 pazienti, in un ambito territoriale che conta circa 56.000 abitanti. Le patologie rare riscontrate sono state: 4 Distrofie muscolari (prevalenza=0,7/10.000), 2 Sclerosi Laterale Amiotrofica (prevalenza=0,36/10.000), 2 Sindromi da pseudo-ostruzione-intestinale (prevalenza=0,36/10.000), 1 Corea di Huntington, 1 Ittiosi Lamellare, 1 Disturbo del Ciclo dell'Urea, 1 Sindrome di Rett, 1 Displasia Ectodermica, 1 Sindrome di Lennox-Gastaut, 1 Ipogonadismo con anossia ed 1 Anemia Ereditaria. I costi complessivi sono stati pari a 32.000 euro. Rispetto al 2011 c'è stato un incremento della spesa di 4.500 euro circa dovuto sostanzialmente a 3 nuovi casi.

Conclusioni. L'attento monitoraggio dell'iter prescrittivo ha evidenziato una sostanziale adesione alle direttive in materia di accreditamento e codificazione della diagnosi. Il registro informatico adottato ha permesso un'efficiente gestione degli ordini con un conseguente azzeramento degli scaduti. Alla complessità assistenziale richiesta dalle patologie rare, il farmacista ospedaliero è coinvolto attivamente a rispondere con l'attivazione di strumenti gestionali atti a garantire i bisogni terapeutici degli assistiti per consentirne e facilitare il trattamento farmacologico.

ASLTO5, FOCUS SULL'APPROPRIATEZZA PRESCRITTIVA NELLE MALATTIE RARE

Emanuela Peila - ASLTO5, FARMACIA OSPEDALIERA, DIRIGENTE FARMACISTA
Filomena Mastropierro - ASLTO5, FARMACIA OSPEDALIERA, DIRIGENTE FARMACISTA
Simona Bortolotto - ASLTO5, NEUROLOGIA, DIRIGENTE MEDICO
Massimo Comune - ASLTO5, PNEUMOLOGIA - OSP DI CHIERI, DIRIGENTE MEDICO
Gianni Cametti - ASLTO5, EMATOLOGIA - OSP DI CHIERI, DIRIGENTE MEDICO
Alberto Kiss - ASLTO5, CHIRURGIA- OSP DI CHIERI, DIRIGENTE MEDICO
Lorena Poggio - ASLTO5, FARMACIA OSPEDALIERA, DIRETTORE

Introduzione. In Regione Piemonte i Servizi Farmaceutici delle ASL dispensano in distribuzione diretta, ai sensi della Circolare regionale dell'11 ottobre 2005 e s.m.i., i farmaci per le malattie rare in classe Hex OSP2, A e C. Il D.M. 279/2001, permette la prescrizione dei farmaci, in regime SSN, efficaci e appropriati per il trattamento e il monitoraggio della malattia rara esentata. La distribuzione diretta concorre per il 33% circa della spesa farmaceutica ospedaliera dell'ASLTO5, che nel 2012 è stata circa di 24.600.000€. I farmaci dispensati per malattie rare contribuiscono al 25% della spesa della distribuzione diretta. Obiettivo della Farmacia Ospedaliera dell'ASLTO5, è monitorare l'appropriatezza terapeutica, al fine di migliorare l'efficacia clinica, diminuire l'insorgenza di effetti collaterali e ottimizzare i costi.

Materiali e metodi. La terapia per le malattie rare viene dispensata per due mesi e registrata sul File F, strumento di monitoraggio epidemiologico e clinico, di rendicontazione economica e di attività. Dal File F sono state estrapolate tutti farmaci dispensati a pazienti affetti da malattia rara. È stato costituito un gruppo di lavoro aziendale, costituito da Farmacista Ospedaliero, Neurologo, Pneumologo, Chirurgo Addominale, Ematologo, che ha valutato l'appropriatezza delle prescrizioni a pazienti affetti da malattie rare, ognuno per la propria competenza.

Risultati. Nell'anno 2012, la Farmacia Ospedaliera dell'ASLTO5 ha dispensato farmaci in distribuzione diretta a 2.175 pazienti, di cui 266 affetti da malattia rara (12%) per circa 2.070.000€. 220 prescrizioni, per 73 pazienti (27%) sono state ritenute non attinenti alla malattia rara esentata; di queste il 34% (31 pazienti) sono state ritenute inappropriate, il 40% (39 pazienti) da giustificare da parte dei centri prescrittori, il 26% (24 pazienti) da valutare in collaborazione con il Centro Interegionale di Coordinamento delle Malattie Rare. Le prescrizioni ritenute non attinenti sono state soprattutto per le anemie ereditarie (25%) e per l'insufficienza intestinale cronica (22%) e hanno riguardato farmaci di fascia A (73%), C(24%), H (3%), in particolare vitamine (48%) e antiipertensivi (23%). Il valore economico delle prescrizioni ritenute non appropriate è di circa 18.000 €, pari all'1% della spesa aziendale dei farmaci per malattie rare.

Conclusioni. Il monitoraggio dell'appropriatezza delle terapie per le malattie rare è essenziale per una gestione costo-efficace delle stesse, per instaurare una collaborazione attiva con i Medici Specialisti, per garantire il miglior trattamento possibile rispettando i vincoli economici-finanziari. Sarebbe auspicabile l'inserimento della figura del Farmacista Ospedaliero nell'elaborazione dei PDTA regionali e la stesura di elenchi di farmaci appropriati per la malattia rara esentata.

FARMACOEPIDEMIOLOGIA DELLE MALATTIE RARE

Luciana Pazzagli - Azienda Sanitaria Firenze, Farmacia di Continuità Polo Careggi, Farmacista Direttore
Giuseppina Domicolo - Azienda Sanitaria Firenze, Farmacia di Continuità Polo Careggi, Farmacista
Raffaella Carpenedo - Azienda Sanitaria Firenze, Dipartimento del Farmaco, Farmacista
Giovanni Ceriello - Azienda Sanitaria Firenze, Farmacia di Continuità Polo Careggi, Farmacista
Rosalba Tucci - Azienda Sanitaria Firenze, Farmacia di Continuità Polo Careggi, Farmacista
Federico Romagnoli - Azienda Sanitaria Firenze, Farmacia di Continuità Polo Careggi, Farmacista

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

Valentina Borsi - Scuola di Specializzazione di Firenze, , Farmacista Specializzando
Lucia Scala - Scuola di Specializzazione di Firenze, , Farmacista Specializzando
Giuditta Scialino - Scuola di Specializzazione di Firenze, , Farmacista Specializzando

Introduzione. I registri nazionali e regionali delle malattie rare studiano l'epidemiologia in relazione ai pazienti che afferiscono ai vari Centri di riferimento. Nella pratica quotidiana è tuttavia difficile stabilire la prevalenza per ogni malattia, rilevare dati di popolazione, assistenza farmaceutica e distribuzione per residenza dei malati. In ambito clinico si tende inoltre a prediligere la parte diagnostica rispetto a quella prescrittiva che appare eterogenea sia per tipologia di prodotti (spesso integratori e prodotti dietetici, privi di efficacia clinica dimostrata) che per comportamenti assistenziali da parte dei farmacisti di fronte a pazienti con gravi patologie. Il caso di una particolare richiesta (epatoprotettore a base di curcuma e pepe nero per soggetto talassemico) ha generato la necessità di monitorare patologie, pazienti ed assistenza erogata, quale elemento di gestione.

Materiali e metodi. Per tutti i soggetti con malattie rare assistiti dalla Farmacia di Continuità Polo Careggi (2011-2013) è stato creato un archivio informatizzato dai piani terapeutici, con dati organizzati per paziente, età, patologia, prodotti dispensati. Le dispensazioni farmaceutiche sono gestite in modo elettronico. Le criticità riscontrate sono valutate con i Centri di riferimento, per uniformare i comportamenti prescrittivi vs inappropriatezze, per efficacia e costi generati.

Risultati. I pazienti (pz) assistiti nel 2013 sono stati 112 (47 M, 65F) vs 109/2012 e 46/2011, con età media 47 nelle Femmine e 48-50 nei Maschi. Malattie prevalentemente assistite sono quelle del Sistema Nervoso e Organi di senso (63 pz), Malformazioni Congenite (20 pz) e Malattie delle ghiandole endocrine, nutrizione, metabolismo, disturbi immunitari (19 pz). L'assistenza erogata comprende farmaci, integratori, dietetici, diagnostici e dispositivi. I costi vedono stabile la spesa per diagnostici, in aumento la spesa per farmaci (+37%) e plasmaderivati (+49%), materiale sanitario/dispositivi (+20%) mentre è in riduzione la spesa per dietetici/integratori (-32%); tra questi i più prescritti sono vitamine, ferro, aminoacidi. La Farmacia è divenuta il riferimento dei Centri Specialistici afferenti alla struttura, anche per il supporto informativo su percorsi e farmaci/prodotti erogabili.

Conclusioni. Il buon risultato rappresenta una visione ristretta, da ampliare a livello di tutta l'Azienda Sanitaria. Permane critica la rilevazione delle terapie in atto e dei soggetti affetti da malattie rare per ASL di appartenenza, e di conseguenza la stima della prevalenza per malattia e costi correlati.

Bibliografia. I quaderni di Orphanet, 2012, vol. 1. Fox JL. Rare disease drugs boosted by new prescription Drug User Fee Act. Nat Biotechnol. 30 (8): 733-734, 2012. Malattie rare. Del.Giunta Regionale Toscana 90/2009.

INCIDENZA DELLE PATOLOGIE RARE NELL'ASP DI PALERMO E INFORMAZIONI AI PRESCRITTORI PER FACILITARE L'ACCESSO ALLE TERAPIE

Giuseppa Maria Italiano - ASP PALERMO, DIPARTIMENTO FARMACEUTICO, FARMACISTA DIRIGENTE
Maurizio Giammanco - ASP Palermo, Farmaceutico, Farmacista Dir.
Maurizio Pastorello - ASP Palermo, Farmaceutico, Direttore Dip.Far.

Introduzione. Le malattie rare nonostante si manifestino con una bassa incidenza, costituiscono un serio problema poiché non sono state oggetto delle attenzioni di studio, diagnosi e trattamento che vengono fornite ad altre patologie con maggiore diffusione. L' Assessorato Regionale alla Salute ha regolamentato con proprio decreto n° 1262 del 14/06/2007, l'erogazione a favore dei pazienti affetti da Malattie Metaboliche Rare, di "farmaci e prodotti destinati ad una alimentazione particolare" (art. 1). Con successivo decreto n° 2679 del 19/11/2009 sono state definite le modalità operative per l'erogazione di farmaci classificati in fascia C ed off-label a favore dei pazienti affetti da Malattie Rare. Nell'ASP di Palermo le forniture sono state centralizzate presso l'U.O. di Farmacia Territoriale del Dipartimento Farmaceutico.

Materiali e metodi. L' U.O. di Farmacia Territoriale acquisisce i piani terapeutici, rilasciati dai Centri Specialistici di Riferimento, facenti parte della Rete Nazionale, ed eroga farmaci e prodotti dietetici ai pazienti affetti da Malattie Metaboliche Rare. Relativamente alla fornitura di farmaci in fascia C ed off-label, la stessa è subordinata all'acquisizione dell'autorizzazione rilasciata dal responsabile del procedimento, individuato nel Direttore Sanitario dell'azienda di appartenenza dell'assistito. I dati relativi al paziente e alla patologia sono stati riportati in un database che ci ha permesso di rilevare da gennaio a dicembre 2012, la tipologia delle patologie e l'incidenza sulla popolazione dell'ASP di Palermo.

Risultati. Si sono rivolti all' U.O. di Farmacia Territoriale, su una popolazione di 1.240.000 assistiti, n° 95 pazienti affetti da malattie rare, di cui n° 55 affetti da malattie metaboliche, di età compresa tra 0 e 87 anni e n° 40 affetti da malattie rare, di età compresa tra 0 e 72 anni. Le patologie relative ai disturbi del metabolismo e del trasporto degli aminoacidi (RCG040) risultano essere quelle con maggior incidenza (28 paz), seguite da: sindrome di Klinefelter (RNO690) n° 4 pazienti; narcolessia (RFO150)n° 3 pazienti; cistite interstiziale (RJO030) n°3 pazienti; talassemia maior (RDG010) n° 3 pazienti; epidermolisi bollosa (RNO570) n° 3 pazienti; Sindrome miasteniforme di Lambert-Eaton (RFO190) n° 3 pazienti.

Conclusioni. Al fine di facilitare l'accesso alle terapie , stante l'eterogenea dislocazione dei Centri Specializzati nel trattamento delle malattie rare, l' U.O. di Farmacia Territoriale ha predisposto e fornito ai prescrittori , compresi quelli extraregionali, una modulistica riportante il percorso assistenziale che il paziente deve seguire nell'ambito dell'ASP di Palermo.

ANALISI DELLE PRESCRIZIONI DI FARMACI E PRESIDI MEDICI A PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIE RARE O PARTICOLARI PATOLOGIE

Antonio De Franco Iannuzzi
Azienda Sanitaria Provinciale di Crotone, Dip. Farmaceutico, Farmacista

Introduzione. Negli ultimi anni si è assistito ad un aumento delle diagnosi di Malattie Rare (MR) e, più in generale, di particolari condizioni cliniche (PP) che solo recentemente hanno guadagnato lo status di "patologia". L'aumento dei pazienti e le difficoltà a garantire ad essi adeguate prestazioni sanitarie impone l'obbligo di creare, talvolta "ex novo", dei

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

modelli organizzativi che riescano a soddisfare delle richieste che per loro stessa natura sono molto eterogenee e frequentemente variabili. L'Azienda Sanitaria Provinciale "Magna Graecia" di Crotone ha quindi ritenuto necessario formalizzare un modello organizzativo per l'approvvigionamento e la distribuzione dei farmaci destinati alla terapia di Malattie Rare o di particolari patologie.

Materiali e metodi. Sono state prese in considerazione, relativamente al periodo 2010-2012, tutte le prescrizioni di farmaci destinate a pazienti affetti da Malattie Rare sulla base di quanto previsto dal Centro Nazionale Malattie Rare dell'Istituto Superiore di Sanità, e dalle Leggi n. 648 del 1996 e n. 548 del 1993. Tutti i dati sono stati trattati nel pieno rispetto della privacy dei pazienti, valutando caso per caso la necessità di richiedere eventuali informazioni integrative qualora le stesse fossero indispensabili e non presenti nei Piani Terapeutici pervenuti. Tutte le prescrizioni e le dispensazioni sono state poi aggregate in modo da ottenere una analisi completa che tenesse conto sia del lato economico che di quello clinico ed epidemiologico.

Risultati. I pazienti che hanno ricevuto forniture di farmaci o presidi medici nel periodo in esame, sono risultati essere 29 nel 2010, 35 nel 2011 e 28 nel 2012. La spesa complessiva ammonta a € 352.650,80, di questi € 94.620,15 imputabili alle forniture per Malattie Rare, € 233.884,40 alla Legge 648/96 e € 24.146,25 alla Legge 548/93. Sono state individuate 29 diagnosi diverse (7 di MR, 22 di PP), relative a 45 soggetti diversi. La prevalenza della totalità delle diagnosi di MR nella popolazione residente è risultata dello 0,004%, ben inferiore quindi al livello soglia europeo previsto nello 0,05% per ciascuna patologia.

Conclusioni. Lo studio ci ha consentito di avere una panoramica complessiva di natura economica, sociale e clinica relativa ai soggetti affetti da malattie rare o da particolari patologie. A seguito dei frequenti colloqui che tenuti con i medici prescrittori ed i pazienti, tutto il personale del Servizio Farmaceutico Territoriale ha potuto approfondire la conoscenza delle varie patologie, dei sintomi clinici e degli effetti collaterali dei farmaci utilizzati.

MONITORAGGIO DELLE PRESCRIZIONI FARMACEUTICHE PER LE MALATTIE RARE: IL RUOLO DEL FARMACISTA NELLA AUSL ROMA H

Simonetta Biondi - farmacia, del farmaco, farmacista dirigente
Pasqualina Mangiacapra - farmacia, farmaco, farmacista territoriale
Stefania Cioffi - farmacia, del farmaco, farmacista territoriale
Stefania Dell'orco - farmacia, del farmaco, direttore u.o.c farmacia territoriale
Luisa Paese - farmacia, del farmaco, direttore dipartimento del farmaco

Introduzione. Una malattia è considerata rara quando colpisce non più di cinque persone ogni 10.000 abitanti. La rarità di tali patologie fa si che i pazienti che ne sono affetti incontrino maggiori problematiche legate alle difficoltà diagnostiche, alla carenza di informazione, alla scarsità di opinioni terapeutiche da cui scaturisce una sensazione di isolamento. Da qui la necessità di un impegno congiunto tra le differenti professioni sanitarie per definire quel filo sottile che garantisca continuità terapeutica e che dia soprattutto fiducia al cittadino. Nella rete delle malattie rare si inserisce la figura del farmacista territoriale che analizzando le prescrizioni e verificandone l'appropriatezza prescrittiva è in grado di fornire risposte di assistenza efficaci e concrete. Il Servizio Farmaceutico di residenza del paziente eroga gratuitamente i farmaci prescritti (fascia A, C e H) come indicato nel DM 279/2001. Al fine di facilitare il paziente nel percorso diagnostico e terapeutico e garantire un elevato livello di qualità dell'assistenza e tempestività di intervento, l'ASL ROMA H con D.A. n.1089 del 28.12.2011 e successive precisazioni prot n.3904 del 16-01.2012 garantisce la fornitura di integratori e presidi. Sono stati confrontati i piani terapeutici per valutarne l'appropriatezza prescrittiva e la spesa farmaceutica.

Materiali e metodi. Sono state analizzate le differenti tipologie di farmaci erogate nell'anno 2012 per le patologie rare afferenti ai Servizi Farmaceutici Territoriali Distrettuali di Albano, Pomezia e Marino della ASL RMH.

Risultati. Le prescrizioni risultano essere appropriate, il 76.09% dei farmaci erogati è di fascia C con una spesa del 78.56%, il 18,97% della spesa è rappresentato dagli integratori e presidi che incidono per il 10.87%, la fascia A rappresenta 4.34% dei farmaci erogati, con una spesa del 0.04%. Tra le prescrizioni il 8.7% risultano essere off label e l'importo speso rappresenta il 2.43% della spesa.

Conclusioni. Dall'analisi dei dati si riscontra buona aderenza alle direttive nazionali e regionali emanate da parte di tutte le professioni sanitarie coinvolte, dal clinico al farmacista che dispensa i beni farmaceutici. La spesa sostenuta nel 2012 per tali patologie è attribuibile a farmaci (fascia c), integratori e presidi non diversamente a carico del SSN, questo contribuisce ad aumentare il livello di assistenza (LEA) farmaceutica e a migliorare la percezione dei servizi offerti dalla sanità al cittadino. In questa ottica oltre ad assicurare al paziente un approccio multidisciplinare (clinico-diagnostico-terapeutico) viene garantita anche una adeguata assistenza per le eventuali implicazioni psicologiche del paziente e dei suoi familiari.

FREQUENZA E COSTI TERAPEUTICI DELLE MALATTIE RARE IN ETÀ PEDIATRICA PRESSO L'AOU-SECONDA UNIVERSITÀ DI NAPOLI

Elisabetta Ricciardi - Università degli studi di Messina - AOU-Seconda Università degli studi di Napoli, Servizio di Farmacia clinica e Farmacovigilanza, Farmacista specializzando
Stefania Ziccardi - AOU-Seconda Università degli studi di Napoli, Servizio di Farmacia clinica e Farmacovigilanza, Farmacista
Francesco Russo - AOU-Seconda Università degli studi di Napoli, Servizio di Farmacia clinica e Farmacovigilanza, Farmacista
Giovanni Dubuis - AOU-Seconda Università degli studi di Napoli, Servizio di Farmacia clinica e Farmacovigilanza, Farmacista
Rosa Annibale - AOU-Seconda Università degli studi di Napoli, Servizio di Farmacia clinica e Farmacovigilanza, Farmacista

Introduzione. Per definizione le malattie rare (MR) sono tali quando non colpiscono più di 5 pazienti su 10.000 abitanti. Circa il 50% delle MR interessa l'età pediatrica ed almeno l'80% di esse è su base genetica. A causa della bassa incidenza delle MR, la maggior parte dei farmaci prescritti per la loro terapia sono utilizzati senza indicazione terapeutica specifica (off-label) ai sensi della legge 296/06 (finanziaria 2007) art. 1 comma 796. Al fine di valutare l'andamento dei ricoveri per MR in età pediatrica, l'appropriatezza prescrittiva e l'entità della spesa farmaceutica nell'Azienda Ospedaliera Universitaria-Seconda Università di Napoli, per il loro trattamento sono stati analizzati i piani terapeutici dell'anno 2012 e del primo semestre 2013.

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

Materiali e metodi. I dati provengono dall'archivio informatico dei Piani Terapeutici dei pazienti in cura presso i reparti di pediatria della AOU-SUN nel periodo compreso tra gennaio 2012 e giugno 2013. Sono stati analizzati: codici di esenzione delle patologie (sulla base dell'elenco delle malattie rare, G.U. n 160 del 12/07/2001) e i farmaci dispensati con il relativo costo.

Risultati. Nel 2012, i pazienti che sono stati trattati presso l'AOU-SUN nelle UU.OO.CC. di pediatria, sono stati 6.227 (ricoveri ordinari e day hospital); di questi, 283 risultano essere stati ricoverati per MR, con un'incidenza del 4,54% sul totale dei ricoveri. Nel primo semestre 2013, i pazienti complessivamente ricoverati sono stati 2.027, di cui 62 per MR, con un'incidenza di poco più del 3% dei ricoveri. Inoltre, nel 2012, a causa del fallimento terapeutico dei trattamenti in-label, il 6% dei pazienti (n°17) ha necessitato di un trattamento off-label; nel primo semestre 2013 i pazienti con MR trattati off-label costituiscono ben il 32% (n°20). Inoltre, tra le MR trattate off-label, in quest'ultimo semestre è stato registrato un aumento significativo di patologie a carattere ereditario come la talassemia major, con 14 casi, e la neurofibromatosi di tipo 1, con 4 casi. Infine la spesa farmaceutica dei trattamenti off-label, nel 2012 ha rappresentato il 28% della spesa farmaceutica complessiva delle UU.OO.CC. di pediatria, invece nel primo semestre 2013 costituisce al momento il 25% della stessa.

Conclusioni. Lo studio documenta un aumento del ricorso delle terapie off-label per le MR in Pediatria. Ciò ha determinato un incremento significativo della spesa farmaceutica delle UU.OO.CC di pediatria della AOU-SUN.

IL CASO PIRFENIDONE NEL TRATTAMENTO DELLA FIBROSI POLMONARE IDIOPATICA: EFFICACIA, SICUREZZA E NUOVO SISTEMA DI RIMBORSABILITÀ PER UNA MALATTIA RARA

Adriano Cristinziano - AORN Ospedali dei Colli - P. Monaldi, UOC Farmacia, Farmacista Direttore UOC
Maria Galdo - AORN Ospedali dei Colli - P. Monaldi, UOC Farmacia, Farmacista Dirigente
Luigia Auriemma - AORN Ospedali dei Colli - P. Monaldi, UOC Farmacia, Farmacista borsista
Sara Pempinello - Università degli studi di Napoli Federico II, Scuola di Specializzazione in Farmacia Ospedaliera, Farmacista Specializzando
Maria Riemma - AORN Ospedali dei Colli - P. Monaldi, UOC Farmacia, Farmacista Volontario
Antonella Nappi - AORN Ospedali dei Colli - P. Monaldi, UOC Farmacia, Farmacista Volontario
Stefano Carrino - AORN Ospedali dei Colli - P. Monaldi, UOC Farmacia, Farmacista Ospedaliero
Agnese Stanziola - AORN Ospedali dei Colli - P. Monaldi, Clinica Pneumofisiopatologia Respiratoria Federico II, Medico Dirigente

Introduzione. Il Pirfenidone è un farmaco immunosoppressore indicato per il trattamento della malattia rara "fibrosi polmonare idiopatica" registrato in EMA nel 2011. Allo scopo di caratterizzarne il profilo di sicurezza, in base a rischi potenziali per la funzionalità epatica e la fotosensibilità, il produttore ha l'obbligo di avviare uno studio postautorizzativo (PASS) per raccogliere informazioni demografiche sui pazienti. Dal 05/2011 fino al 09/2012 il farmaco è fornito attraverso la procedura ad hoc NPP di uso compassionevole, i cui costi sono a carico del produttore. Il 31/05/2013 l'AIFA ha stabilito il regime di rimborsabilità del farmaco. Le condizioni di erogabilità dipendono dal successo della terapia che deve essere certificato dalla struttura sanitaria alla quale afferisce il paziente mediante comunicazione al produttore tra il 165° e il 195° giorno successivo all'inizio della terapia per pazienti naive. L'A.O. dei Colli di Napoli è centro di riferimento regionale per il trattamento della suddetta malattia rara.

Materiali e metodi. La UOC Farmacia ha collaborato con la Clinica Universitaria di Pneumofisiopatologia Respiratoria, per implementare il monitoraggio dei pazienti in trattamento con pirfenidone in termini di efficacia clinica e di sicurezza. In tutto il 2012 sono stati arruolati 34pazienti (24M 10F; età media 61,59) con IPF di grado lieve- moderato di cui 21 praticavano terapia cortisonica+acetilcisteina, 10 terapia cortisonica e 3 nessun trattamento. I criteri di inclusione: fibrosi polmonare idiopatica di grado lieve-moderata(FVC>50%th, DLCO>35%th, 6MWT mt percorsi >150), età < 80 anni, non responsività a terapia cortisonica. La diagnosi di IPF è stata formulata con biopsia polmonare in chirurgia toracoscopia video-assistita nel 26,28% dei pazienti arruolati, negli altri attraverso il quadro radiologico e clinico secondo i criteri ATS/ERS.

Risultati.
Dei 34 pazienti arruolati, 10 (29,41%) hanno interrotto il trattamento con pirfenidone, 7 dei quali dopo massimo 4 settimane, 2 dopo 6/7 mesi e 1 è deceduto in seguito a trapianto polmonare. I disturbi gastrici sono stati la causa di interruzione del trattamento nel 55,6% dei casi, nella restante parte la causa è da imputare a dispnea accompagnata da tosse.

Conclusioni. Dalla nostra esperienza si rileva che per la IPF non ci sono alternative al pirfenidone, unico in grado di rallentare la progressione del danno polmonare, pur avendo un profilo di maneggevolezza basso tanto da richiedere un'attenta sorveglianza degli effetti collaterali. Pertanto si evince una piena corrispondenza tra i nostri risultati e la strategia dell'Autorità Regolatoria nello stabilire il regime di rimborsabilità in base al successo terapeutico.

NECESSITÀ DI REGOLAMENTAZIONE PER LA DISPENSAZIONE DI PRODOTTI NON INSERITI NEI LEA PER PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIE RARE

Valentina Muciaccia - Università degli Studi di Bari, SSFO, Specializzando
Teresa Azzollini - Università degli Studi di Bari, SSFO, Specializzando
Stefania Antonacci - ASLBARI, Area Farmaceutica Territoriale, Farmacista
Angela Chielli - ASLBARI, Area Farmaceutica Territoriale, Farmacista

Introduzione. L'individuazione di nuove diagnosi per le Malattie Rare (MR) ha prodotto nuovi approcci terapeutici. L'obbiettivo del nostro lavoro è quello di valutare nella ASLBA quanto le prescrizioni di dietetici, per pazienti affetti da MR, si discostino dai Lea e dalla Normativa Regionale vigente in termini di costi a carico delle ASL. Si vogliono inoltre valutare, i costi annuali complessivi per verificarne la sostenibilità da parte della Regione Puglia.

Materiali e metodi. Sono stati analizzati: il DM 18/05/2001 n° 279, la DGR Puglia 2238 del 23/12/2003 e le istruzioni operative MR -Regione Puglia 2005. Sono state, inoltre, analizzate le pratiche relative al primo trimestre 2013 di 275 pazienti affetti da MR, afferenti alla Farmacia Territoriale di Bari, con l'obiettivo di verificare la variabilità e il numero di confezioni di dietetici e integratori erogati sia a pazienti affetti da malattie metaboliche che ad altre tipologie di

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

pazienti. Sono stati raggruppati i pazienti per patologia e per prescrizione di: 1) Alimenti a fini medici speciali, 2) alimenti e integratori non inclusi nel Registro Nazionale, 3) cosmetici. Sono stati infine valutati i rispettivi costi mensili.

Risultati. I 275 pazienti affetti da MR afferiscono a 60 diverse patologie. I pazienti che necessitavano di prodotti inseriti nel Registro Nazionale Alimenti a Fini Medici Speciali (AFMS) sono 31, i pazienti che necessitano di dietetici non inclusi nel Registro sono 39 , i pazienti a cui sono stati prescritti "cosmetici" per malattie dermatologiche sono 34. Il costo mensile degli Alimenti da Registro è stato pari a 8.362,53 euro; il costo mensile di alimenti e integratori non inclusi nel Registro (e non inseriti nei LEA) è stato pari a 6.227,56. I prodotti cosmetici non inseriti nei LEA per pazienti affetti da MR o da Malattie neuro-degenerative, hanno prodotto una spesa mensile di 1.808,23 Euro. Per tutto quanto non previsto dai LEA ed erogato si è avuto un costo di 16.398,32 euro mensili (196.779,84 annuali).

Conclusioni. Nella Regione Puglia non esiste una normativa regionale per la presa in carico di pazienti che necessitino dei prodotti non presenti nel Registro Nazionale AFMS, né per pazienti che pur necessitando di alimenti inseriti nel Registro, non siano affetti da Malattie Metaboliche Rare quanto piuttosto da malattie neuro-degenerative. Dall'analisi della spesa per ciascuna ASL potrebbe emergere la possibilità della presa in carico di questi pazienti con la determinazione delle quote di spesa massima erogabile per ciascun paziente, in modo tale da poter consentire un'assistenza a questa tipologia di pazienti.

Bibliografia. DM 18/05/2001 n° 279, la DGR Puglia 2238 del 23/12/2003 e le istruzioni operative MR -Regione Puglia 2005; Centri Malattie Rare - Puglia 2011_ 0413; Accordo Stato-Regioni 10 Maggio 2007.

EFFICACIA E SICUREZZA DI GLUCOSIDASI ALFA UMANA RICOMBINANTE NELLA MALATTIA DI POMPE AD ESORDIO TARDIVO: CASE-REPORT NEL POLICLINICO DI BARI

Arianna Gadaleta - Università degli Studi di Bari, Scuola di Specializzazione in Farmacia Ospedaliera, Specializzanda
Francesca Lapenna - A.O. Policlinico di Bari, U.O. Neurofisiopatologia,
Maria Faggiano - A.O. Policlinico di Bari, Area Farmaceutica, Dirigente Farmacista
Michele Lattarulo - A.O. Policlinico di Bari, Area Farmaceutica, Direttore
Maria Trojano - Università degli Studi di Bari, Scienze Mediche di Base, Neuroscienze ed Organi di Senso,

Introduzione. La glucosidasi alfa umana ricombinante è l'unico farmaco approvato per la Malattia di Pompe, patologia rara autosomica recessiva, che causa miopatia generalizzata con interessamento del cuore e dei muscoli respiratori. Secondo letteratura, il trattamento presenta una discreta incidenza di reazioni all'infusione che possono manifestarsi, anche in modo grave. Si descrive il caso di un paziente di 55 anni con malattia di Pompe late-onset in terapia con glucosidasi alfa ricombinante, con particolare riferimento alle problematiche di tollerabilità e sicurezza.

Materiali e metodi. Consultazione della cartella clinica e confronto con la letteratura pertinente.

Risultati. Il paziente è in trattamento con glucosidasi alfa ricombinante (posologia di 20 mg/Kg ogni 2 settimane) dal novembre 2011. Nelle prime quattro somministrazioni, considerata la sua diatesi allergica, è stata effettuata una pre-medicazione con cortisone/inibitore di pompa protonica/antistaminico; successivamente, data la completa assenza di reazioni infusionali, è stato somministrato solo antistaminico. Alla diciottesima infusione, il soggetto ha presentato una reazione di ipersensibilità (rubeosi del volto, aumento pressorio, ridotta saturazione arteriosa di ossigeno, malessere generale); la terapia è stata sospesa per qualche minuto e, dopo rapido miglioramento del quadro clinico con somministrazione di ossigeno, ripresa a velocità inferiore e completata. La stessa problematica si è manifestata durante le successive tre sedute, fino al ripristino della pre-medicazione anche steroidea. Nel settembre 2012 fu constatata la positività della reazione di attivazione del complemento, responsabile verosimilmente delle reazioni infusionali nonché la produzione, a titolo elevato, di IgG contro l'enzima ricombinante che darebbe risultati farmacologici sub-ottimali. Successivamente, il livello delle IgG è risultato dimezzato. Durante un'infusione nel febbraio 2013, il paziente, nonostante la pre-medicazione abituale, ha manifestato nuovamente dei disturbi di entità più grave caratterizzati da ipotensione, subcianosi del volto, malessere generale e dispnea, rendendo necessaria la sospensione dell'infusione, che, per richiesta del soggetto, non è stata più ripresa nonostante il miglioramento dei sintomi. Dopo tre mesi, il paziente ha sottoscritto un nuovo consenso informato ricominciando il trattamento, previa somministrazione di una dose cospicua di uno steroide più potente e, finora, non ha presentato ulteriori problematiche infusionali. Il trattamento ha determinato, inoltre, uno sfumato miglioramento del quadro respiratorio e bioptico e una mancanza di progressione peggiorativa.

Conclusioni. La glucosidasi alfa ricombinante, sebbene abbia comportato reazioni di ipersensibilità anche piuttosto gravi, ha determinato i miglioramenti citati, come riportato in letteratura. Pertanto, si continuerà a monitorare il paziente per chiarire il valore del rapporto costo/efficacia, per una spesa annua di farmaco pari a circa 560.000 euro.

TERAPIA CON ECULIZUMAB E MIGLIORAMENTO DELLA QUALITÀ DELLA VITA (QdV) IN UNA PAZIENTE AFFETTA DA EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA (EPN)

Sabrina Amendolagine - Università degli Studi di Bari, A.O. Policlinico Consorziali di Bari, specializzanda
Miriam Rizzo - Università degli Studi di Bari, A.O. Policlinico Consorziale di Bari, Specializzanda
Giuseppe C. Patano - Università degli Studi di Bari, A.O. Policlinico Consorziale di Bari, Specializzando
Maria E. Faggiano - A.O. Policlinico Consorziale di Bari, Area Farmaceutica, Dirigente Farmacista
Roberto Ria - A.O. Policlinico Consorziale di Bari, U.O. Medicina Interna "Baccelli, Professore associato
Angelo Vacca - A.O. Policlinico Consorziale di Bari, U.O. Medicina Interna "Baccelli, Professore Ordinario
Michele Lattarulo - A.O. Policlinico Consorziale di Bari, Responsabile R.U.O., Direttore di Farmacia

Introduzione. Dal 2007 è commercializzato eculizumab, anticorpo monoclonale umanizzato, per il trattamento dell'EPN, malattia "ultra-rara" del sangue (incidenza stimata 0,55/100.000)1. Eculizumab lega la proteina C5 del complemento bloccando la porzione terminale della cascata provocando emolisi intravascolare complemento mediata. Eculizumab, sottoposto al Registro Nazionale dei farmaci orfani, secondo AIFA ha "Innovatività moderata", risultando efficace nella riduzione di eventi trombotici, stabilizzazione

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 18.97.14.86 Tue, 08 Sep 2026, 17:48:50

dei livelli di HB e riduzione del numero di trasfusioni. Il beneficio, relativo alla qualità di vita (QdV) e sopravvivenza (10-15 anni dalla diagnosi), non sono stati valutati. Nella Medicina Interna "Baccelli" una paziente con EPN è trattata con eculizumab.

Materiali e metodi. Esame della cartella clinica ed estrapolazione dei dati di laboratorio predittivi della patologia (HB, LDH), numero di trasfusioni, ricoveri, accessi ambulatoriali e valutazione di reazioni avverse (ADRs) da terapie pregresse; questionario somministrato alla paziente, dopo quindici mesi di eculizumab, per valutare il possibile cambiamento della QdV, prima e dopo la terapia.

Risultati. Nel 1993 si verificano i primi episodi di anemia emolitica ed emoglobinuria, con valori di HB sempre al di sotto degli standard di riferimento (14-18 g/dl) che non superano mai i 10,5 g/dl sino all'agosto 2011, tranne dopo le trasfusioni; secondo indice di emolisi emerso è la lattato deidrogenasi (LDH) i cui valori (150_480 UI/l) risultano essere mediamente cinque volte più alti. La paziente accusa affaticamento, dolori addominali, dispnea, tipico colore scuro dell'urina che, negli anni, la costringono a continui ricoveri e numerose trasfusioni. Prima della diagnosi, viene sottoposta a diversi trattamenti palliativi (Ferro, ac. Folico, desametasone, vit.B). Dal questionario si evince un'iniziale QdV scarsa per stanchezza, dolori addominali, ADRs iatrogene, orticaria pruriginosa ed allettamento. Dopo trattamento con eculizumab (gennaio 2012), la paziente mostra miglioramenti della QdV: non effettua più ricoveri e non trasfonde, cessano i dolori, le ADRs e le altre terapie. Inoltre, ad un mese dall'inizio della somministrazione di eculizumab (febbraio 2012), i dati predittivi di EPN si normalizzano, così come l'HB.

Conclusioni. Si ritiene che, anche con 1 paziente, si possano aggiungere utili elementi perché l'AIFA riconsideri la valutazione sull'eculizumab. Il farmaco ha dimostrato di possedere un'elevata attività farmacologica ed ha dimostrato una reale effectiveness per il netto recupero della QdV e la concreta ipotesi dell'aumento di sopravvivenza che potrebbe superare i 15 anni, non ipotizzabile sino a qualche anno fa. Inoltre, nonostante il costo elevato di eculizumab (€374.465,3/anno/paziente), si ritiene che, stante l'eccezionalità e rarità del caso, questo possa essere ritenuto sostenibile.

UN FOCUS SUI PAZIENTI EMOFILICI DELL'OSPEDALE SAN GIOVANNI BOSCO DELL'ASLTO2: TERAPIA CHE RICHIEDE UNA COSTANTE E CONTINUA SORVEGLIANZA

Paolo De Magistris - ASLTO2 - OSPEDALE SAN GIOVANNI BOSCO, S.C.FARMACIA OSPEDALIERA, FARMACISTA
Maria Cristina Verlengo - ASLTO2-OSPEDALE SAN GIOVANNI BOSCO, S.C.FARMACIA OSPEDALIERA, FARMACISTA
Sara Osella - ASLTO2-OSPEDALE SAN GIOVANNI BOSCO, S.C.FARMACIA OSPEDALIERA, FARMACISTA
Giuliana Russo - ASLTO2-OSPEDALE SAN GIOVANNI BOSCO, S.C.FARMACIA OSPEDALIERA, Responsabile S.S.Magazzino Farmaci
Anna Leggieri - ASLTO2-OSPEDALE SAN GIOVANNI BOSCO-OSPEDALE MARIA VITTORIA, S.C.FARMACIA OSPEDALIERA, DIRETTORE

Introduzione. Gli emofilici presentano deficit congenito del fattore della coagulazione che può portare alla formazione di un ematoma/emartro fino a copiosi sanguinamenti. La gestione farmacologica risulta essere molto complessa in quanto spesso grandi quantità di fattori devono essere somministrati in un breve arco di tempo. Tutti i pazienti vengono inseriti nel registro delle malattie rare con il codice RDG020, da tale registro si redige il Piano Terapeutico (PT) delle malattie rare, strumento indispensabile per la dispensazione dei medicinali. L'obiettivo del lavoro è di effettuare un focus sui pazienti e sull'appropriatezza dei PT pervenuti dai vari centri e l'aderenza alla terapia.
Materiali e metodi. L'analisi è stata condotta confrontando il tracciato FileF dell'anno 2012 e i primi 3 mesi del 2013 con i PT delle malattie rare.L'aderenza alla terapia si è stimata confrontando la posologia indicata nei PT con il tracciato FileF,considerando la prima e l'ultima data di dispensazione ed escludendo l'ultimo mese di analisi, in quanto il paziente risulta coperto dalla dispensanzione del mese precedente.

Risultati. I pazienti con codice RDG020 risultano essere 13, 11 uomini e 2 donne, tra questi ci sono 3 minorenni. Nei PT la dicitura "al bisogno" viene riportata su 19 dei 56 visionati. A 8 pazienti sono stati redatti PT integrativi con un picco di 4 ad un paziente. A 3 pazienti si è reso necessario attivare il protocollo di immunotolleranza per la presenza di inibitori anti-fattore VIII e due di questi hanno ricevuto il fattore VIII ricombinante (rFVIII) ed Eptacog.Un solo paziente ha terminato i 2 anni previsti con esito negativo.L'aderenza alla terapia varia da -102% a +30%.La spesa per i fattori di coagulazione incide del 51% su tutta la distribuzione diretta.

Conclusioni. La gestione dei pazienti emofilici è complessa data la gravità della malattia e si ripercuote sulla dispensazione dei medicinali con un'alta variabilità all'aderenza. I bambini risultano essere sicuramente più complessi da gestire in quanto richiedono continui aggiustamenti di dose per variazione di peso.Tutti e 3 bambini sono stati inseriti nel protocollo di immunotolleranza e ci si pone degli interrogativi sulla associazione concomitante del rFVIII ed Eptacog per due di questi. Lo studio ha sollevato un'altra riflessione relativi ai PT e cioè se per i pazienti complessi sia più opportuno adottare PT trimestrali in modo da ricorrere meno ai PT integrativi. L'analisi ha suscitato diverse considerazioni che dovranno essere approfondite con gli esperti del settore al fine di garantire il diritto alla cura rispettando l'appropriatezza prescrittiva.

MANAGEMENT

VALIDAZIONE DEL QUESTIONARIO<<NURSING SATISFACTION SURVE>> PER LA VERIFICA DELLA SODDISFAZIONE DEGLI INFERMIERI NELLA SOMMINISTRAZIONE DELLA TERAPIA INSULINICA

Alessandra Braus - A.O. Treviglio-Caravaggio, Farmacia, Farmacista - Borsista
Carmine S. Poerio - A.O. Treviglio-Caravaggio, UO Malattie Metaboliche e Diabetologia,
Giovanni Veronesi - Università degli Studi dell'Insubria, Varese, Centro Ricerche EPIMED - Epidemiologia e Medicina Preventiva Dipartimento di Medicina Clinica e Sperimentale,
Emilio G. Galli - A.O. Treviglio-Caravaggio, UO Nefrologia e Dialisi,
Giovanni Meroni - A.O. Treviglio-Caravaggio, Direzione Sanitaria Aziendale,
Lavinia Gilberti - A.O. Treviglio-Caravaggio, UO Farmacia,
Antonio C. Bossi - A.O. Treviglio-Caravaggio, UO Malattie Metaboliche e Diabetologia,

Introduzione. In Italia non esistono questionari validati per determinare la soddisfazione degli infermieri relativamente al metodo di somministrazione della terapia insulinica in