

dati inseriti nei registri per ricavare informazioni epidemiologiche e di appropriatezza prescrittiva utili ai fini della programmazione regionale.

**Materiali e metodi.** L'analisi riguarda il primo quadrimestre 2015. Settimanalmente vengono monitorati i dati inseriti dai centri nel registro regionale e nel registro di monitoraggio AIFA. Vengono estratti i dati relativi a: pazienti eleggibili al trattamento e loro caratteristiche; prescrizioni registrate dai clinici; nuovi trattamenti avviati per i quali è stata dispensata almeno una confezione di farmaco; trattamenti conclusi.

**Risultati.** Nel periodo di riferimento sono stati inseriti nel registro AIFA 450 nuovi pazienti trattati con farmaci DAA a cui è stata dispensata almeno una confezione di farmaco; non c'è stato nessun caso di interruzione precoce di terapia per reazioni avverse; 4 pazienti hanno concluso il trattamento. L'80% delle prescrizioni (386) inserite nel registro AIFA sono al momento presenti anche nella piattaforma regionale, in cui sono state complessivamente registrate sino ad oggi le caratteristiche di 835 pazienti eleggibili alla terapia con nuovi DAA dai 13 centri Hub e 30 da 2 centri Spoke. Il maggior numero di pazienti eleggibili rientra nei criteri AIFA 1 (pazienti con cirrosi classe Child A o B e/o con HCC con risposta completa a terapie resettive chirurgiche o loco-regionali non candidabili a trapianto epatico e nei quali la malattia epatica sia determinante per la prognosi) e 4 (epatite cronica con fibrosi METAVIR F3).

**Conclusioni.** I registri rappresentano un importante strumento di monitoraggio, anche per disporre di dati epidemiologici, e consente un'efficace programmazione, attraverso la gestione informatizzata e standardizzata dei processi di eleggibilità, monitoraggio dell'appropriatezza prescrittiva e della spesa farmaceutica.

#### INIZIO DI UN PERCORSO DI STEWARDSHIP ANTIBIOTICA ALL'INTERNO DELL'AZIENDA OSPEDALIERA UNIVERSITARIA SENESE

Carolina Laudisio,<sup>1</sup> Chiara Castellani,<sup>1</sup> Davide Paoletti,<sup>1</sup> Carlotta Lodovichi,<sup>2</sup> Francesco Lorusso,<sup>1</sup> Giovanna Gallucci,<sup>1</sup> Giuseppina Sasso,<sup>1</sup> Alessandra Catocci,<sup>1</sup> Maria Teresa Bianco,<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Farmacia Ospedaliera, AOU Senese, Siena

<sup>2</sup>Scuola di Specializzazione in farmacia ospedaliera, Firenze

**Introduzione.** Le infezioni ospedaliere sono un indicatore di qualità della sanità pubblica, nonostante queste siano a componente multifattoriale, correlate al paziente (età, polipatologie-politerapie, terapie immunosoppressive, etc), e alla corretta pratica assistenziale (gestione del paziente, della terapia e degli ambienti). Sia negli USA che in Europa si stimano circa 2000000 di pazienti affetti da infezioni resistenti agli antibiotici normalmente prescritti, con alti tassi di mortalità. L'antibioticoresistenza non è uniforme in EU, ma è maggiore nei paesi del Sud e dell'Est: resistenza ai carbapenemi in *Klebsiella pneumoniae*, alle cefalosporine di 3<sup>a</sup> generazione e ai fluorochinoloni in *Escherichia coli*; alla meticillina in *Stafilococchi*. Una delle principali cause di aumento della resistenza è rappresentata dalla crescente pressione selettiva esercitata dall'uso di antibiotici a spettro più o meno ampio, da terapie empiriche protratte, dalla somministrazione di dosaggi subottimali e impiego in prima linea di molecole con elevata capacità di generare resistenze.

**Materiali e metodi.** All'interno dell'Azienda Ospedaliera Universitaria Senese sono state formulate numerose procedure aziendali per il controllo delle infezioni ospedaliere, per l'individuazione/gestione di ceppi resistenti. In una visione di stewardship antibiotica, la Farmacia ha contribuito fornendo report degli antibiotici presenti in AOUS divisi per classe e la Microbiologia con schemi semplificativi per una corretta lettura degli antibiogrammi in base alle MIC, considerato che negli antibiogrammi sono riportati solo alcuni principi attivi a rappresentanza delle classi. Per taluni farmaci, quali Tigeciclina e Daptomicina, è stata adottata la richiesta motivata, con presentazione di antibiogramma o consulenza infettivologica.

**Risultati.** Dall'analisi emerge che dal 2013 al 2014 sono stati trattati 82 pazienti con la Tigeciclina, di cui 15 per *Klebsiella pneumoniae* multiresistente, 26 per *Staphylococcus*, principalmente epidermidis, e 5 per *Enterococcus faecalis*. Il numero di pazienti trattati con la Daptomicina è di 30. Dagli antibiogrammi risultano principalmente casi di *Staphylococcus aureus* ed epidermidis.

**Conclusioni.** Grazie all'azione congiunta di un team multidisciplinare per l'implementazione di una stewardship antibiotica, è stato possibile sensibilizzare tutto il personale sanitario circa la problematica dell'antibiotico resistenza. Oltre al materiale informativo pubblicato sul sito aziendale, sono stati effettuati corsi di aggiornamento sulla stewardship antibiotica e

sulle infezioni ospedaliere. In sede di Commissioni Terapeutiche e CCIIO, è emerso da parte dei clinici una maggiore attenzione in merito alle criticità, soprattutto nelle Terapie Intensive e le Piastre Operatorie, con l'adozione di protocolli ad hoc, sia per le terapie antibiotiche che per la disinfezione.

## MALATTIE RARE

### USO OFF-LABEL DI CANAKINUMAB IN UN PAZIENTE AFFETTO DA EPIDERMOLISI BOLLOSA EREDITARIA

Miriam Rizzo,<sup>1</sup> Silvia Buongiorno,<sup>1</sup> Maria Ernestina Faggiano,<sup>2</sup> Giuseppina Annicchiarico,<sup>3</sup> Michele Lattarulo<sup>2</sup>

<sup>1</sup>Scuola di Specializzazione in farmacia ospedaliera, Università di Bari

<sup>2</sup>Servizio di Farmacia, AOU, Policlinico di Bari

<sup>3</sup>Coordinamento Regionale Malattie Rare Puglia

**Introduzione.** L'Epidermolisi bollosa ereditaria (EBE) sono malattie genetiche, caratterizzate da una fragilità della cute, delle mucose e di altri organi e apparati. La prevalenza complessiva delle EBE in Italia è stimata in circa 1/100.000 abitanti, che la qualifica come malattia ultra-rara. Giunta presso il Servizio di Farmacia di un Policlinico Universitario una richiesta di uso off-label per indicazione del medicinale canakinumab, anticorpo monoclonale con attività anti-interleuchina 1beta, relativa ad un paziente di 22 anni affetto da EBE variante distrofica, si è deciso, d'accordo con i medici, di seguire l'evoluzione della malattia con particolare riferimento al farmaco.

**Materiali e metodi.** Al primo incontro, intervista al paziente sulle condizioni generali di salute e sui farmaci in uso prima di iniziare il trattamento con canakinumab; colloqui con il paziente ad ogni somministrazione del medicinale. Analisi dei referti contenenti dati biochimici di prelievi ematici, a cui il paziente è stato sottoposto con cadenza mensile.

**Risultati.** Il trattamento è cominciato nell'ottobre 2014, con schema posologico di una fiala da 150 mg/8 settimane. Dopo un'iniziale miglioramento dello stato generale di salute, con scomparsa della componente dolorosa e riduzione nel numero di lesioni bollose, si è manifestata una riacutizzazione dei sintomi che ha convinto i clinici ad anticipare la seconda somministrazione. Essa è avvenuta, infatti, dopo 6 settimane e successivamente 1f/4 settimane. I valori di Proteina C-reattiva (PCR) sono passati da 71,2 a 7,7 mg/dL nell'arco di tre mesi. Alla terza somministrazione la PCR si è stabilizzata su valori normali e le piastri sono scese da 800.000 a 400.000. Ai dati clinici è corrisposto una riduzione delle ferite e bolle del 70%; dopo la quarta somministrazione sono ricomparsi i sintomi e i segni d'infiammazione, con aumento della PCR, sebbene il paziente abbia riferito di numero contenuto di lesioni, con minor presenza di essudato. Le condizioni di salute del paziente restano buone, a conferma di ciò un incremento ponderale di 6-7kg dall'inizio della terapia. La quinta e la sesta somministrazione non producono sostanziali miglioramenti. Si varia ulteriormente lo schema posologico, anticipando la settima somministrazione a 2 settimane, cui segue dopo altre 2 settimane l'ottava dose. Il paziente non riferisce miglioramenti.

**Conclusioni.** Il paziente ha ben tollerato il farmaco, infatti, non si sono verificati eventi avversi, quali infezioni delle vie urinarie e delle vie aeree superiori, tipiche di canakinumab; si ritiene necessario approfondire perchè la terapia abbia inizialmente funzionato, ma l'efficacia sia poi successivamente diminuita aprendo così a nuove ipotesi cliniche e farmacologiche.

### IL PIRFENIDONE NEL TRATTAMENTO DELLA FIBROSI POLMONARE IDIOPATICA: L'ESPERIENZA NELLA NOSTRA ASL

Roberta Ricciardelli, Maria Felicia Cinzia Piccaluga, Aida Colecchia, Francesca Sonnante, Aida Di Nuzzo Ruggieri, Renato Lombardi, Ada Foglia

Dipartimento Farmaceutico Territoriale, ASL, Foggia

**Introduzione.** La fibrosi polmonare idiopatica è una rara malattia polmonare interstiziale, che ogni anno colpisce dai 5000 ai 9000 italiani, con una sopravvivenza mediana dal momento della diagnosi che varia dai 2 ai 5 anni. Dal 29 Giugno 2013 è in commercio in Italia ed in monitoraggio AIFA il pirfenidone, con indicazione specifica nel trattamento della IPF da lieve a moderata. Obiettivo del presente lavoro è stato quello di effettuare, attraverso l'analisi del Registro AIFA, una stima dei pazienti con IPF trattati con pirfenidone nell'intera ASL. È stato inoltre previsto un attento monitoraggio dei trattamenti inseriti al fine di valutare l'efficacia della terapia e segnalare all'azienda farmaceutica gli eventuali insuccessi, non a carico del SSN, secondo le condizioni stabilite dal Success Fee, accordo negoziale ad oggi applicato in Italia solo per il pirfenidone.

**Materiali e metodi.** Dal Registro AIFA sono stati estrapolati tutti i dati relativi ai pazienti trattati con pirfenidone dal 29 Giugno 2013 fino al termine del periodo di osservazione fissato al 31 Dicembre 2014. I dati raccolti sono stati inseriti su un foglio di lavoro Excel, riportando: sesso ed età dei pazienti, date delle prescrizioni e dispensazioni di pirfenidone, data ed esito della rivalutazione e le interruzioni di terapia con le relative motivazioni.

**Risultati.** Nell'arco temporale considerato sono stati trattati 20 pazienti, 80 per cento maschi e 20 per cento femmine, con età media pari a 70 anni. Il 20 per cento pari a 4 pazienti trattati, ha interrotto definitivamente la terapia con pirfenidone prima della rivalutazione obbligatoria a 6 mesi: 2 pazienti per tossicità, 1 paziente per decesso mentre per 1 paziente al 31 Dicembre 2014 non è stato inserito su AIFA il fine trattamento nonostante il paziente non fosse più in terapia da 5 mesi. In nessun caso, è risultato applicabile il Success Fee, in quanto i quattro pazienti hanno sospeso la terapia prima della rivalutazione. 12 pazienti corrispondenti al 60 per cento hanno superato positivamente la rivalutazione e 4 pazienti sono risultati non valutabili ai fini del Success Fee, in quanto al 31 Dicembre 2014 non hanno ancora raggiunto la finestra temporale prevista per la rivalutazione, tra il 165esimo ed il 195esimo giorno successivo all'inizio della terapia.

**Conclusioni.** L'analisi del Registro del pirfenidone ha permesso di constatare il successo della terapia per la gran parte dei soggetti trattati, ma anche i limiti del Success Fee, che non contempla il fallimento terapeutico per tossicità o altre cause prima della rivalutazione. I Registri AIFA rappresentano comunque strumenti di indiscusso valore poiché consentono valutazioni farmacoepidemiologiche, garantendo l'appropriatezza prescrittiva e migliorando l'outcome dei pazienti.

#### **FIBROSI POLMONARE IDIOPATICA: TOLLERABILITÀ, COMPLIANCE E RISPOSTA CLINICA NEL TRATTAMENTO DI UNA MALATTIA RARA**

Alice Isoardo, Maria Maddalena Ferrero, Riccardo Dutto, Elisabetta Grande, Lucia Infante, Marianna Mondini, Giorgia Perlo, Margherita Viglione, Claudio Bonada S.C. Farmacia, ASO S. Croce e Carle, Cuneo

**Introduzione.** La fibrosi polmonare idiopatica è una malattia rara, irreversibile e progressiva; in Italia il tasso di incidenza è 5000-9000 nuovi casi/anno. Non esiste attualmente una cura risolutiva per questa patologia; il trapianto di polmone è un'opzione terapeutica che può essere presa in considerazione solo per pochi pazienti. L'EMA ha approvato due terapie orali in grado di rallentare la progressione: pirfenidone e nintedanib; in Italia è in commercio da giugno 2013 soltanto il pirfenidone. Considerando i pazienti trattati presso il centro di Pneumologia aziendale, ci si è proposti di indagare tollerabilità, compliance e risposta clinica al trattamento disponibile.

**Materiali e metodi.** Sono state analizzate le prescrizioni di pirfenidone pervenute alla Farmacia Ospedaliera dall'immissione in commercio a maggio 2015. Da una revisione delle cartelle cliniche è stata indagata la risposta terapeutica; tollerabilità e compliance sono state monitorate tramite colloqui diretti del farmacista con i pazienti e/o i familiari e tenendo in considerazione gli intervalli tra le dispensazioni del farmaco effettuate in regime di distribuzione diretta.

**Risultati.** Sono stati candidati al trattamento, secondo le indicazioni terapeutiche autorizzate (grado di fibrosi da lieve a moderato), 16 pazienti, con età media 73 anni a inizio terapia. La maggior parte è di sesso maschile (13/16); la durata media del trattamento è 9,5 mesi (range 1-19). Un paziente era già in terapia in uso compassionevole da anni con un buon controllo della patologia; un paziente è deceduto prima dell'inizio del trattamento ed un altro durante, per cause non farmaco-correlate. A maggio 2015 sono in terapia 8 pazienti, 7 assumono pirfenidone da più di 6 mesi; in questi pazienti il trattamento garantisce una buona qualità di vita. 3 pazienti hanno interrotto la terapia per progressione della fibrosi polmonare; 1 paziente ha invece sospeso volontariamente il trattamento (mancata compliance), pur avendo una stabilità clinica di malattia. Un solo paziente ha interrotto precocemente l'assunzione di pirfenidone per tossicità farmaco-correlata (nausea); in questo caso era comunque stata rilevata stabilità del quadro clinico. Tutti i pazienti assumono correttamente e regolarmente il farmaco.

**Conclusioni.** Il 36% dei pazienti che hanno assunto pirfenidone per almeno 6 mesi è andato incontro ad una progressione di malattia. Il trattamento orale con questo farmaco risulta ben tollerato con un unico caso rilevato di sospensione per tossicità, tuttavia la compliance dei pazienti è risultata influenzata dalla posologia stessa del farmaco (9 cpr/die). Per questa patologia e nell'ambito dei trattamenti disponibili il farmacista ha un ruolo

fondamentale nel monitorare ed incoraggiare l'aderenza alla terapia.

#### **IL FARMACISTA TERRITORIALE NELLA GESTIONE TERAPEUTICA DELLA FIBROSI CISTICA: ANALISI EPIDEMIOLOGICA E VALUTAZIONE DEI COSTI**

Sebastiana Di Pietro,<sup>1</sup> Giovanna Nobile,<sup>2</sup> Maria Giuseppina Cali,<sup>2</sup> Paola Terzo,<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Ospedale Lentini, <sup>2</sup>P.O Trigona Noto, ASP, Siracusa,

**Introduzione.** La Fibrosi Cistica (FC) è una malattia genetica ereditaria, a trasmissione autosomica recessiva, dovuta a mutazioni del gene CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator). La malattia altera la funzionalità delle ghiandole esocrine, coinvolgendo prevalentemente l'apparato gastrointestinale e respiratorio e causando polmoniti croniche ostruttive, insufficienza pancreatica e concentrazione elevata di elettroliti nel sudore. I dati del Registro Italiano per la Fibrosi Cistica riportano una prevalenza di 0,871/10.000 abitanti ed un'incidenza di 1/4238. L'assistenza ai soggetti affetti da FC è garantita dalla legge n. 548/93 che regola la tutela e la cura dei malati, garantendo la fornitura gratuita del materiale medico, tecnico e farmaceutico necessario per la cura e la riabilitazione a domicilio. Obiettivo del nostro lavoro è effettuare un'indagine focalizzata sulla gestione terapeutica della malattia, con valutazioni epidemiologiche e monitoraggio dei costi, allo scopo di migliorare l'assistenza sanitaria ed ottimizzare le risorse future.

**Materiali e metodi.** Attraverso il database aziendale abbiamo estratto i dati di erogazione relativi ad un anno di trattamento (aprile 2014- aprile 2015). I parametri presi in considerazione sono stati: numero assistiti; sesso; età; tipologia di prodotto dispensato; quantità di prodotto erogata e relativa spesa. Le informazioni ricavate sono state quindi riportate in fogli di calcolo elettronici per poter effettuare l'analisi ed elaborare i dati.

**Risultati.** I pazienti affetti da FC seguiti nel nostro ospedale sono 8, 6 maschi e 2 femmine, di età compresa tra 1 e 41 anni. L'età media per gli uomini è di 23,1 anni e per le donne di 21,66 anni. La prevalenza della malattia, considerando il nostro bacino d'utenza pari a 56.188 abitanti, risulta essere di 1/10.000 abitanti, un valore nettamente superiore rispetto alla media nazionale e dovuto probabilmente al fatto che la malattia, di natura genetica, è fortemente presente in una comunità etnica residente molto chiusa. La spesa totale sostenuta è stata di € 70.341,96 di cui il 91,34% è stata relativa a farmaci, il 6,83% relativa ad integratori ed il restante 1,83% relativa a presidi e dispositivi medici.

**Conclusioni.** L'indagine condotta ha permesso, attraverso valutazioni epidemiologiche ed economiche, di tracciare un quadro più chiaro sulla gestione terapeutica della malattia e sui costi correlati. Il monitoraggio della terapia è uno dei compiti del farmacista territoriale che, tramite l'accesso facilitato alle cure, assicura la continuità terapeutica e garantisce al paziente alti standard qualitativi nel percorso assistenziale.

#### **MONITORAGGIO E FARMACOUTILIZZAZIONE DELLA TERAPIA ANTIBIOTICA DOMICILIARE NEI PAZIENTI AFFETTI DA FIBROSI CISTICA**

Sebastiana Di Pietro,<sup>1</sup> Giovanna Nobile,<sup>2</sup> Maria Giuseppina Cali,<sup>2</sup> Paola Terzo,<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Ospedale Lentini, <sup>2</sup>P.O Trigona Noto, ASP, Siracusa,

**Introduzione.** La fibrosi cistica (FC) è la più comune delle malattie genetiche gravi di carattere evolutivo, caratterizzata da forti problemi respiratori, digestivi e difetti di crescita staturale. Il coinvolgimento a livello respiratorio è responsabile dell'esito precoce nella malattia, essendo le esacerbazioni delle infezioni polmonari la principale causa di morbilità e mortalità nei pazienti. L'antibiototerapia ha un ruolo indispensabile per il controllo della patologia ed ha l'obiettivo di prevenire, eradicare e controllare le infezioni respiratorie. Obiettivo dello studio è monitorare l'utilizzo degli antibiotici in ambito domiciliare allo scopo di analizzare gli andamenti prescrittivi, le vie di somministrazione maggiormente utilizzate ed i costi correlati.

**Materiali e metodi.** Per tutti i pazienti di FC assistiti in carico al nostro ospedale, è stato creato un archivio informatizzato con dati organizzati per età, sesso, prodotti dispensati e data di ritiro. Per il nostro studio abbiamo monitorato un intero anno di trattamento (aprile 2014 - aprile 2015) e per il calcolo della spesa sostenuta abbiamo estratto i dati dal database aziendale.

**Risultati.** I pazienti assistiti nel periodo considerato sono stati 8 (6M, 2F / età media 22,5 anni) e tutti, almeno una volta, hanno avuto necessità di antibiototerapia sebbene con modalità e

posologie estremamente varie. L'81,25% ha utilizzato terapia inalatoria con colistimetato e tobramicina. Il 75% ha utilizzato terapia orale ed i principi attivi dispensati sono stati in ordine di frequenza: ciprofloxacina, azitromicina, sulfametossazolo/trimetoprim, levofloxacina, amoxicillina/clavulanico, cefuroxima. Solo nel 25% dei casi è stato necessario l'impiego di terapia iniettabile con farmaci di classe A (ceftazidima e ceftriaxone) e con farmaci di classe H (amikacina, imipenem e cilastatina, piperacillina e tazobactam, meropenem). Il costo annuo totale della terapia antibiotica è stato di € 35.103,42, di cui il 95% è rappresentato solo dalla terapia inalatoria (€35.806,92). La spesa media annua per l'antibiototerapia è stata complessivamente di € 2.693,96 per singolo paziente.

**Conclusioni.** Dall'analisi dei dati si evince che la terapia antibiotica inalatoria è stata quella maggiormente prescritta e, in accordo alle linee guida nazionali ed internazionali, l'antibiototerapia per via parenterale è stata riservata solo ai casi di riacutizzazioni respiratorie, peggioramento del quadro clinico o in presenza di un decremento importante della funzione respiratoria. Sebbene con costi importanti, l'utilizzo precoce e corretto della terapia antibiotica ha permesso l'aumento della sopravvivenza e della qualità di vita nei pazienti coinvolti. Inoltre, il monitoraggio della farmacoutilizzazione antibiotica è stato di indubbia utilità per la gestione futura della terapia e dei costi correlati.

#### **APPROCCIO MULTIDISCIPLINARE DEL TRATTAMENTO DELLA FIBROSI POLMONARE IDIOPATICA CON PIRFENIDONE PRESSO L'AZIENDA OSPEDALIERO-UNIVERSITARIA POLICLINICO-VITTORIO EMANUELE DI CATANIA**

Carmela Privitera, Laura Terranova, Lipari Noemi, Sabrina Regolo, Francesca Lo Monaco  
Servizio di Farmacia, AOU, Policlinico V. Emanuele, Catania

**Introduzione.** La Fibrosi Polmonare Idiopatica (IPF) è una malattia rara, a prognosi infausta, spesso imprevedibile, con sopravvivenza media alla diagnosi di circa 3 anni con deterioramento progressivo della funzione polmonare fino all'insufficienza respiratoria. Una speranza per i circa 6000-9000 pazienti italiani con IPF è rappresentata dal pirfenidone, primo farmaco autorizzato (Determina AIFA519/2013 29 Maggio 2013), per il quale il Registro di Monitoraggio AIFA prevede il modello di rimborsabilità success-fee. Il pirfenidone è un farmaco antifibrotico per os che, somministrato in fase lieve/moderata della patologia è capace di rallentarne la progressione. In quanto malattia rara con peculiarità epidemiologiche e terapeutiche, la IPF necessita di una visione multidisciplinare diagnostico-terapeutico-assistenziale che offra ai pazienti un'assistenza efficace ed efficiente, conseguibile attraverso una costante collaborazione tra medico specialista in pneumologia e farmacista ospedaliero. Il Centro di Riferimento per le Malattie Rare del Polmone dell'Azienda è stato il primo e l'unico ad essere autorizzato alla prescrizione del pirfenidone in Sicilia fino ad Aprile 2014. L'obiettivo dello studio è quello di ottenere dati epidemiologici relativi alla regione Sicilia, verificare l'approccio terapeutico e l'aderenza al trattamento al fine di garantire l'efficacia clinica, diminuire l'insorgenza di eventi avversi, ottimizzare i costi e di supportare successive valutazioni farmacoeconomiche

**Materiali e metodi.** Sono state esaminate le schede del registro AIFA dei pazienti e i piani terapeutici delle prescrizioni effettuate da Settembre 2013 a Maggio 2015. Sono state estrapolate le informazioni su anagrafica, dispensazioni ed esiti del trattamento, e raccolte all'interno di un database disponibile in farmacia per un continuo e attento monitoraggio.

**Risultati.** Dall'analisi dei dati 2013-2015 si evince che: i pazienti affetti da IPF e presi in carico presso il Centro Prescrittore dell'Azienda sono 127 (86 M, 41 F, età media 69,04), di cui 24 naive (19%), 48 in prosecuzione del trattamento (38%), 18 trasferiti al secondo Centro di riferimento regionale (14%); 37 hanno sospeso per: progressione malattia (3pz 8%), scarsa compliance (8pz 22%), eventi avversi (8pz 22%); decesso per cause non correlate al trattamento (8pz 21%), altro (10 pz,27%).

**Conclusioni.** L'analisi dei dati, attraverso il database prodotto, ha permesso un approccio multidisciplinare con i medici prescrittori per un accurato controllo dell'aderenza al trattamento, degli eventi avversi e dell'efficacia della terapia. Il monitoraggio costante delle prescrizioni e dispensazioni ha permesso altresì una migliore programmazione e gestione delle risorse economiche e pone le basi per approfondimenti farmacoeconomici

#### **Bibliografia.**

[http://www.malattierepolmonesicilia.it/?page\\_id=223](http://www.malattierepolmonesicilia.it/?page_id=223).

Determina AIFA 519/2013 GU 138 14/06/2013, [www.agenziafarmaco.gov.it](http://www.agenziafarmaco.gov.it)

<http://www.osservatoriomalattierare.it/fibrosi-polmonare-idiopatica-ipf/4278-fibrosi-polmonare-idiopatica-una-speranza-ed-un-supporto-concreto-per-i-pazienti>.

#### **PERCORSO DIAGNOSTICO-TERAPEUTICO DELL'IPERTENSIONE ARTERIOSA POLMONARE E ANALISI DELLE PRESCRIZIONI DELL'ANNO 2014 NELL'AZIENDA OSPEDALIERA UNIVERSITARIA SENESE**

Carolina Laudisio,<sup>1</sup> Chiara Castellani,<sup>1</sup> Davide Paoletti,<sup>1</sup> Carlotta Lodovichi,<sup>2</sup> Giuseppina Sasso,<sup>1</sup> Francesco Lorusso,<sup>1</sup> Giovanna Gallucci,<sup>1</sup> Alessandra Catocci,<sup>1</sup> Maria Teresa Bianco<sup>1</sup>  
<sup>1</sup>Farmacia Ospedaliera, AOU Senese, Siena

<sup>2</sup>Scuola di Specializzazione in farmacia ospedaliera, Firenze

**Introduzione.** L'ipertensione Polmonare (IP) è una condizione fisiopatologica caratterizzata da un aumento delle resistenze arteriose polmonari i cui effetti clinici ed emodinamici sono legati all'aumento del postcarico e alle capacità di compenso del ventricolo destro. La sopravvivenza a 5 anni è del 30% nei pazienti con una Pressione Arteriosa Polmonare (PAP) media >40mmHg al momento della diagnosi e del 10% in coloro che hanno una PAP media >50 mmHg. Esiste un ritardo fino a 3 anni tra i primi sintomi e la diagnosi, pertanto la prevalenza esatta della malattia non è nota ma si pensa sia sottodiagnosticata.

**Materiali e metodi.** Il percorso diagnostico dell'ipertensione Polmonare è complesso e prevede un approccio multidisciplinare. Un primo accesso del paziente è previsto presso l'ambulatorio delle Malattie Respiratorie, in quanto centro di coordinamento regionale delle Malattie Rare del Polmone. Lo pneumologo si avvale della collaborazione del Cardiologo per l'ecocardiogramma, Reumatologo, Radiologo ed infine Emodinamista per l'esecuzione del cateterismo cardiaco destro che rimane il gold standard per la diagnosi di ipertensione polmonare. Effettuata la diagnosi, il paziente riceve la prescrizione dall'ambulatorio di Malattie Respiratorie su apposita modulistica, condivisa tra la Farmacia Ospedaliera e il Centro Prescrittore, relativamente ai farmaci Sildenafil, Tadalafil, Bosentan, Ambisentan e Iloprost. La Farmacia Ospedaliera ha fornito ai clinici i prospetti costo terapia di tutti i farmaci.

**Risultati.** Dall'analisi delle prescrizioni è risultato che nel 2014 sono stati trattati 13 pazienti con IPA, di cui 3 uomini, con i farmaci Sildenafil, Tadalafil, Bosentan, Ambisentan. 10 pazienti sono stati trattati con gli Inibitori del PDE-5, di cui 7 con Sildenafil e 3 con Tadalafil. Per un paziente in trattamento con Sildenafil è stata utilizzata la terapia di combinazione sequenziale con Bosentan, mentre in 2 dei pazienti trattati con Tadalafil è stata utilizzata la cosomministrazione con Ambisentan. Sono stati trattati 4 pazienti con Bosentan (oltre il caso sopra citato), di cui uno dei pazienti era stato già trattato, nello corso dell'anno, con il Tadalafil.

**Conclusioni.** La creazione del percorso diagnostico terapeutico per questa malattia rara è nata dalla condivisione di diversi specialisti, al fine di ridurre i tempi per la diagnosi. I pazienti che hanno ritirato le terapie presso l'AOUS sono pazienti residenti nel territorio senese, e lì dove il paziente ha espresso la volontà di ritirare il farmaco altrove, la stessa Farmacia si è attivata per organizzare il percorso al fine di garantire la continuità terapeutica nei punti farmaceutici più comodi allo stesso.

**Bibliografia.** [www.osservatoriomalattierare.it](http://www.osservatoriomalattierare.it)

#### **ASSISTENZA FARMACEUTICA A PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIE RARE: SCELTA DI UN MODELLO ORGANIZZATIVO IDONEO E ANALISI EPIDEMIOLOGICA**

Chiara Seccaspina,<sup>1</sup> Cristina Mantese,<sup>2</sup> Lucio Di Castri,<sup>1</sup> Antonella De Masi,<sup>1</sup> Alessandra Melfa,<sup>1</sup> Sara Ferrari,<sup>1</sup> Alessia Sartori,<sup>1</sup> Antonio Vitiello,<sup>1</sup> Andrea Eduardo Cucciniello,<sup>1</sup> Martina Mazzari,<sup>1</sup> Therese Gregori,<sup>1</sup> Simonetta Radici,<sup>1</sup>  
<sup>1</sup>Farmacia Territoriale, AUSL PC, Piacenza  
<sup>2</sup>Farmacia, Università, Pavia

**Introduzione.** La Regione con delibera 160/2004 ha organizzato una Rete dei centri per la prevenzione, sorveglianza, diagnosi e terapia delle malattie rare. Le figure coinvolte nella Rete sono inserite in un sistema informativo che ha coinvolto anche i Servizi Farmaceutici aziendali consentendo l'informatizzazione dei Piani Terapeutici Personalizzati (PTP). I PTP, visualizzabili in tempo reale, includono tutti i prodotti prescritti al paziente inclusi farmaci off-label, di fascia C, parafarmaci, integratori, alimenti e dispositivi per i quali la richiesta di fornitura deve essere preventivamente valutata dal Gruppo Tecnico per le Malattie Rare (GTMR) istituito a livello regionale. Nell'ottica di garantire la continuità terapeutica il Servizio Farmaceutico ha creato un percorso nel quale si realizza un coordinamento preciso delle

modalità organizzative e che consente di monitorare la situazione nella nostra AUSL relativamente alle prescrizioni contenute nei PTP.

**Materiali e metodi.** Sono stati esaminati tutti i PTP attivi nell'anno 2015, riferiti ad assistiti afferenti alla nostra AUSL e registrati nella Rete entro il 30/04/2015. Sono stati esclusi i PTP scaduti prima del 31/12/2014 poichè riferiti a pazienti deceduti, trasferiti ad altra ASL o che hanno interrotto la terapia. In un foglio di calcolo elettronico sono stati riportati ed elaborati i dati oggetto dell'analisi.

**Risultati.** I pazienti con PTP attivo sono 148 (85F;63M; età media 43,9 anni). Le malattie/gruppi di malattie più rappresentate nei PTP sono SLA (37 PTP), disturbi del metabolismo/trasporto degli aminoacidi (15), anemie ereditarie (14), connettiviti indifferenziate (13). Sono stati prescritti 427 prodotti totali, soprattutto farmaci di fascia A secondo indicazione (139 prescrizioni), di fascia C (117), prodotti dietetici/alimenti a fini medici speciali (54). I PTP comprendono 123 prescrizioni con richiesta di valutazione al GTMR; il maggior numero di richieste riguarda farmaci di fascia C (51 richieste), farmaci off-label (34), integratori (14). Il GTMR si è espresso valutando positivamente il 79% delle richieste. I principi attivi più prescritti sono riluzolo (35 prescrizioni), tocoferolo (31), levoacetilcarnitina (22).

**Conclusioni.** La creazione di un percorso assistenziale nel quale il farmacista visualizza il PTP informatizzato, lo registra, contatta il paziente, coordina gli ordini, prepara la terapia e la consegna con puntualità, ha permesso di evadere in tempi brevi le richieste. Il modello organizzativo adottato non ha fatto emergere particolari criticità, al contrario ha permesso il monitoraggio e la gestione dell'assistenza farmaceutica che, come emerge dalle analisi proposte, è particolarmente difficile in questo settore per la diversità delle patologie e la numerosità delle terapie impostate.

#### **ASPETTI EPIDEMIOLOGICI E DI FARMACOUTILIZZAZIONE DEI PAZIENTI CON MALATTIA RARA PRESSO IL PO DI COPERTINO, ASL LECCE**

Simona Monte, Emanuela Rossetti, Patrizia De Pascalis  
UOC Farmacia, PO Copertino, ASL LE, Lecce

**Introduzione.** Le malattie rare (MR) sono patologie caratterizzate da una elevata eterogeneità per insorgenza, eziopatogenesi, sintomatologia. Richiedono particolare attenzione, per difficoltà diagnostiche, gravità clinica, decorso cronico e spesa sanitaria. Obiettivo dell'analisi è stato quello di fornire un quadro epidemiologico e di farmacoutilizzazione dei soggetti affetti da MR, afferenti alla farmacia del PO Copertino, ASL LECCE.

**Materiali e metodi.** Sono state esaminate tutte le richieste di prodotti per MR, pervenute presso la farmacia del PO Copertino e sono state elaborate in termini di n° di assistiti, sesso, età media, diagnosi, incidenza e prevalenza sul totale della popolazione che affrisce alla farmacia. Sono stati, quindi, calcolati il numero di unità posologiche (UP) e la spesa sostenuta per ogni tipo di prodotto erogato, tramite estrazioni dal software gestionale di magazzino.

**Risultati.** La farmacia del PO Copertino ha un bacino di utenza di 44.435 abitanti (5,5% della popolazione della ASL Lecce). Nel 2014, i pazienti con MR, registrata ed esente, sono stati 34 (prevalenza: 0,08%). Il 28,5% era di sesso femminile; età media: 30 anni. Due nuovi casi si sono registrati nei primi 4 mesi del 2015. Considerata l'ampia eterogeneità, le patologie sono state raggruppate per sede anatomica: malattie del sangue e degli organi ematopoietici: 55,5%; malattie del SNC e degli organi di senso: 27,8%; malattie congenite: 11,1%; malattie endocrine e disturbi immunitari: 5,6%. Grande varietà è stata registrata anche nella tipologia di prodotti erogati: 61.165 UP, per una spesa di 368.584,02 euro (13% della spesa complessiva), tra farmaci, integratori, dispositivi medici ed alimenti per fini medici speciali. Il 92,2% della spesa è stato sostenuto per l'acquisto di farmaci; il 5,7% per integratori; l'1,7% per i dispositivi medici e lo 0,4% per i prodotti destinati a fini medici speciali. Il farmaco che ha avuto il maggior impatto sulla spesa è stato il Deferasirox con 8.512 UP e una spesa di 211.059,87 euro (il 62,1% della spesa sostenuta per l'acquisto dei farmaci), seguito da Immunoglobulina umana: 600 UP e 19% di spesa.

**Conclusioni.** Dai dati risulta che vi è una prevalenza di MR in linea con il dato italiano ed europeo. È confermata inoltre l'elevata eterogeneità che ha determinato un'ampia variabilità nella spesa sanitaria sostenuta. Il numero delle MR è destinato ad aumentare (2 nuovi casi nei primi 4 mesi del 2015). È sicuramente necessario un attento monitoraggio da parte del farmacista, sia per il controllo dell'appropriatezza prescrittiva che per l'ottimizzazione delle risorse disponibili.

#### **IL TRATTAMENTO DELLA SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA: L'ESPERIENZA DELL'ASL DI CASERTA TRA APROPRIATEZZA E SOSTENIBILITÀ**

Carmela Rosa Borino, Annamaria Eletto, Evelina Murtag, Carmela Iodice, Maria Chiara Izzo, Anna Di Sauro, Cristina Simone, Delia Di Monaco  
UUOCC Farmaceutica Territoriale-Ospedaliera, ASL CE (DS 12, 13 e 16), Caserta

**Introduzione.** Il DM 279/2001 istituisce la rete nazionale delle malattie rare e delega le Regioni sulle modalità di acquisizione e distribuzione dei farmaci, anche attraverso la fornitura diretta da parte dei servizi farmaceutici. Le terapie assegnate ai pazienti sono riportate nel PT per malattia rara redatto dal centro regionale di riferimento. Il tema dell'accesso alle cure è complicato dal fatto che alcune terapie sono costituite da farmaci di fascia C, prodotti galenici estemporanei, trattamenti cosmetici, integratori ed alimenti dietetici, nessuno dei quali dovrebbe essere a carico del SSN a meno che non vi sia una norma regionale. Ad oggi la Regione Campania non ha ancora deliberato al riguardo, demandando agli specialisti degli 11 Presidi di Rete (istituiti con Delibera 1362/2005) e creando disomogeneità nelle modalità distributive. Obiettivo del presente lavoro è quello di analizzare la prescrizione sostenuta dai 3 distretti sanitari (12,13 e 16) dell'ASL di Caserta per farmaci, integratori, alimenti a fini speciali impiegati nel trattamento dei pazienti affetti da SLA (codice esenzione RF0100), una delle 284 patologie inserite nell'elenco del DM 279/2001 e che in Campania colpisce più di 400 persone. Attualmente l'unica opportunità terapeutica è il Riluzolo, che non ha effetto curativo ma viene utilizzato per il "prolungamento della sopravvivenza senza tracheotomia nei pazienti con SLA".

**Materiali e metodi.** Attraverso il database aziendale EUSIS sono stati individuati i pazienti con SLA.

**Risultati.** Nei 3 distretti afferiscono 27 pazienti, di cui 15 femmine con età media 63 anni e 12 maschi con età media 66 anni. Le prescrizioni provengono tutte dall'AOU SUN di Napoli (3 sono i medici prescrittori) e comprendono oltre il Riluzolo (33%) farmaci di fascia C come: Levocarnitina (74%), Tocoferolo alfa (22%), Ubidecarenone (15%), Ademetionina (7%), Vitamine B in associazione (7%) e Vit.C (4%); integratori a base di: Palmitoiletanolammide (70%), Acido alfa-lipoico (15%), Alga spirulina (15%), S-adenosil-L-metionina (15%) e infine Ferro, Acido folico e Vitamina B12 (4%).

**Conclusioni.** Lo studio evidenzia la variabilità prescrittiva tra i clinici di uno stesso centro; è importante che il Farmacista del SSN effettui un attento monitoraggio dell'appropriatezza delle terapie per le malattie rare sia per una gestione costo-efficace delle stesse, che per instaurare una collaborazione attiva coi specialisti al fine di garantire il miglior trattamento possibile rispettando i vincoli economici-finanziari. Sarebbe auspicabile che la Regione predisponesse dei PDTA ad integrazione dei LEA al fine di uniformare i comportamenti prescrittivi e distributivi ed evitare un incongruo utilizzo di risorse.

#### **ESPERIENZA DELL'ASL DI BERGAMO PER LA GESTIONE DI UN PAZIENTE AFFETTO DA ANGIOEDEMA EREDITARIO**

Giuseppa Chiricosta, Laura Spoldi, Marco Gambera  
Servizio farmaceutico territoriale, ASL, Bergamo

**Introduzione.** L'A.O. L. Sacco di Milano, centro di riferimento per la diagnosi e la cura dell' Angioedema Ereditario, ad Aprile 2014 ha trasmesso il piano terapeutico per una paziente, affetta da tale patologia, al Servizio Farmaceutico Territoriale di ASL Bergamo. Trattasi di una malattia rara ereditaria, caratterizzata dalla comparsa di gonfiori (edemi) della cute, delle mucose e degli organi interni, anche fatali in alcuni casi. Secondo le stime una persona su 10.000 - 50.000 ne è affetta. Il nostro Servizio ha erogato negli anni alla paziente diversi farmaci, indicati per la cura di tale patologia, prescrittibili su diagnosi e piano terapeutico e classificati in fascia A PHT (Berinert e Cinryze) e in fascia H (Firazyr), ai quali si è dimostrata poco responsiva. Il nuovo piano terapeutico, della durata di un anno, prescrive il farmaco 'Ruconest 2100 U polv. per soluz. ev 1 flac.', principio attivo CONESTAT ALFA, (fascia C, ricetta RR - senza obbligo di piano terapeutico), con una posologia di due fiale/3v/settimana. Ruconest è un inibitore della C1 esterasi ricombinante che viene impiegato nel dosaggio di 50 UI/kg per il trattamento degli attacchi acuti di angioedema in adulti e adolescenti.

**Materiali e metodi.** La normativa di riferimento, D.Lvo 279/2001, prevede che i pazienti affetti da malattia rara abbiano diritto all'erogazione anche di farmaci in fascia C, prescrittibili dal MMG su ricetta medica del SSN ed erogati dalle farmacie territoriali. Poiché Ruconest è un farmaco ad alto costo (prezzo al

pubblico 2.189 Euro a fiala) si è ravvisata la necessità di valutare la modalità erogativa a seguito di una attenta valutazione dei costi.

**Risultati.** A seguito di una RDO alla ditta Swedish Orphan che ha offerto, per un minimo d'ordine di 20 fiale, un prezzo unitario di 700 Euro + IVA contro un prezzo di 1.595,61+ IVA in caso di erogazione tramite farmacia convenzionata, si è provveduto a prendere in carico la paziente con modalità di gestione diretta del farmaco da parte del SAF con consegne programmate e indicazioni alla paziente circa la modalità di somministrazione.

**Conclusioni.** La distribuzione diretta del farmaco ha comportato un risparmio in 6 mesi di 156.731,75 Euro al netto dell'IVA per l'acquisto di 175 fiale. Inoltre è stato possibile monitorare accuratamente le condizioni della paziente assicurandoci che non abbia avuto reazioni avverse al farmaco o ospedalizzazioni che abbiano richiesto la sospensione della terapia, ordinando il farmaco solo in caso di effettiva necessità.

#### GLI ANTIBIOTICI INALATORI NELLA FIBROSI CISTICA: L'ESPERIENZA DI UNA FARMACIA TERRITORIALE

Giovanni Carlo Maria Finocchiaro,<sup>1</sup> Anna Maria Alabiso,<sup>1</sup> Carla Bonaccorsi,<sup>2</sup> Giovanna Briguglio,<sup>2</sup> Maria Pia Salanitro,<sup>1</sup> Franco Rapisarda<sup>3</sup>

<sup>1</sup>ASP di Catania, Farmacia P.O. Acireale (CT)

<sup>2</sup>Scuola di Specializzazione farmacia ospedaliera, Università di Catania

<sup>3</sup>Dipartimento del farmaco, ASP di Catania

**Introduzione.** La Fibrosi Cistica (FC) è una malattia genetica ereditaria che colpisce 1 neonato su 2.500 - 2.700, è dunque una malattia genetica definita rara trasmessa con meccanismo autosomico recessivo. In osservanza alla Legge nazionale 548/93, presso questa farmacia si è avviata la distribuzione diretta di Farmaci e materiale sanitario, a seguito di prescrizioni provenienti da centri specialistici accreditati, per un quantitativo necessario ad assicurare almeno un mese di terapia. Il documentato aumento della sopravvivenza e la ridotta morbilità nei pazienti affetti da FC, osservati negli ultimi decenni, sono in gran parte attribuibili principalmente alla diagnosi precoce e all'evoluzione delle terapie farmacologiche usate nel trattamento della patologia. L'obiettivo di questo lavoro è quello di valutare il trend di spesa sostenuto per gli antibiotici inalatori nel biennio 2013-2014 e se questo sia compatibile con il minore finanziamento del SSN.

**Materiali e metodi.** I dati di spesa e quelli anagrafici dei pz sono stati estrapolati dal database aziendale e si riferiscono al biennio 2013-2014. Sono state quindi analizzate le dispensazioni a favore dei pazienti affetti da FC afferenti al distretto sanitario (135.000-abitanti) di competenza della farmacia territoriale nell'anno 2014 e confrontate con l'anno precedente, per un totale di 40 assistiti così distribuiti per sesso: 24 maschi e 16 femmine con un'età media di 20 anni.

**Risultati.** L'anno 2013 ha riportato una spesa che solo per gli antibiotici inalatori usati nella FC è stata di € 83.592. La spesa sostenuta per la medesima voce nell'anno 2014 ha raggiunto il valore di € 156.243 con un incremento percentuale dell'86,9% rispetto all'anno precedente. Nell'anno 2014 la spesa per gli antibiotici inalatori ha rappresentato il 68,3% di tutta la spesa per FC che è stata pari a € 228.603, farmaci, presidi, dispositivi medici e integratori dietetici compresi.

**Conclusioni.** Al di là delle possibili valutazioni di natura epidemiologica, l'impatto economico dei vari trattamenti farmacologici, relativo ai soli antibiotici inalatori, ha confermato un aumento considerevole della spesa nel 2014 rispetto al 2013. L'interpretazione dei dati raccolti lascia però aperti alcuni interrogativi, infatti se da un lato evidenzia la maggiore spesa per antibiotici inalatori dall'altro non ne chiarisce i potenziali benefici (es. riduzione delle ospedalizzazioni) che andrebbero approfonditi. Lo stesso dicasi per la sostenibilità negli anni a venire di questi trattamenti antibiotici riportati anche alle imminenti nuove terapie in grado di agire sui meccanismi patogenetici della malattia stessa e non solo sui sintomi.

**Bibliografia.** L.23 dicembre 1993 n.548 G.U.R.I. n.305.

#### TALASSEMIA: STUDIO DI FARMACOUTILIZZAZIONE DEI FERROCHELANTI IN UN DISTRETTO SOCIO SANITARIO

Pasqua Pastore, Beatrice D'Elia

Farmacia del Distretto Socio Sanitario, ASL, Lecce

**Introduzione.** La talassemia è una malattia che fa parte delle emopatie ereditarie, la più diffusa nel Mediterraneo è la beta talassemia, caratterizzata da una ridotta sintesi delle catene beta dell'emoglobina. Le terapie per i pazienti affetti da questa patologia sono una regolare terapia trasfusionale e ferrochelanti. I ferrochelanti utilizzati sono: Deferoxamina, Deferiprone e Deferasirox. Lo scopo dello studio è stato quello di descrivere i

trattamenti e di valutare l'impatto economico dei chelanti del ferro nei pazienti affetti da talassemia nell'anno 2014.

**Materiali e metodi.** Attraverso la visione dei piani terapeutici è stato possibile estrapolare i dati riguardanti: i principi attivi, il sesso dei pazienti affetti dalla patologia e la posologia. Per ricavare i dati di spesa farmaceutica è stato utilizzato il sistema informatico OLIAMM.

**Risultati.** Il numero di pazienti con Talassemia che risiedono nel Distretto è pari a 20, il 25% è di sesso femminile ed il 75% è di sesso maschile; l'età media è di 44,4 anni. Nel corso dell'anno 2014 2 pazienti hanno subito un cambiamento della terapia, uno è passato dalla terapia infusione con Deferoxamina a quella orale prima con Deferiprone e successivamente con Deferasirox, l'altro da Deferasirox a Deferiprone. I restanti 18 pazienti hanno mantenuto la stessa terapia per tutto l'anno, di questi 13 sono stati trattati con Deferasirox, 3 con Deferiprone e 2 con Deferoxamina. Le posologie maggiormente utilizzate per il Deferasirox sono: 1500 mg/die (27%), 1000 mg/die (13%) e 2000 mg/die (20%). Le posologie utilizzate per il Deferiprone sono: 4500 mg/die (40%), 5000 mg/die (40%) e 4000 mg/die (20%); per la Deferoxamina 2000 mg ogni 4 giorni (33,33%), 1,5 mg/die (33,33%) e 5000 mg/die (33,33%). La spesa complessiva dei Ferrochelanti per i pazienti affetti da talassemia nel 2014 è stata pari a 219.428,41 €, il 90,43% è stata sostenuta per l'acquisto del Deferasirox, 8,32% per il Deferiprone ed l'1,25% per la Deferoxamina.

**Conclusioni.** Nonostante la terapia orale comporti una spesa farmaceutica più elevata rispetto a quella infusione bisogna tener conto del guadagno in termini di qualità di vita del paziente e di capacità lavorativa dal momento che si tratta prevalentemente di soggetti giovani.

#### TERAPIA DOMICILIARE E MALATTIA RARE

Daniela Di Gennaro, Pasquale D'Avascio, Luca Franco,

Dario Bianco, Carmen Servilio, Ippolita Sorrentino

UOC Farmacia, ASLNA2Nord, Ospedale S.Maria delle Grazie, Napoli

**Introduzione.** Una malattia è definita rara quando la sua prevalenza nella popolazione supera una determinata soglia. 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 da 284 patologie rare racchiuse in 47 gruppi. Tra queste vi è la malattia di Fabry, una sfingolipidosi facente parte dell'eterogenico gruppo delle malattie da accumulo lisosomiale. Il trattamento di questa patologia consiste in una terapia enzimatica sostitutiva con agalsidasi beta, forma ricombinante della alfa-galattosidasi. Il P.O. S. Maria delle Grazie è stato uno dei primi presidi ospedalieri ad aderire al programma TUTOR.

**Materiali e metodi.** Il programma TUTOR garantisce la somministrazione della terapia al domicilio del paziente, effettuata da un infermiere adeguatamente formato. Il farmacista ospedaliero si occupa dell'approvvigionamento del farmaco e predispone la fornitura, relativa ad ogni prescrizione, per singolo paziente. Il farmaco viene poi confezionato in box refrigerante ed una rete di distribuzione (Caregiving, Italia, Allianz Assistance Healthcare), dotata di copertura assicurativa, si occupa del ritiro del farmaco dalla farmacia ospedaliera e della sua consegna al domicilio del paziente, nonché dello smaltimento dei rifiuti.

**Risultati.** Il P.O. S. Maria delle Grazie ha aderito al programma a partire da settembre 2012 a tutt'oggi. In questo periodo sono stati arruolati 3 pazienti affetti dalla malattia di Fabry (in trattamento con agalsidasi beta- FABRAZYME), la cui età è di 38, 43 e 65 anni. L'impegno per il farmacista ogni 2 settimane è di 30 minuti a paziente. Il risparmio per il SSN è di € 15817,5 (5272,5 per ciascun paziente), per ogni anno di terapia, considerato che, il DRG relativo alla stessa somministrazione effettuata in ospedale è di € 210,90 per ogni accesso.

**Conclusioni.** Il P.O. S. Maria delle Grazie, da anni centro di riferimento per il trattamento delle malattie rare dell' A.S.L. Napoli2Nord (attualmente 15 i pazienti in trattamento), allo scopo di garantire a questi malati la continuità assistenziale, ha aderito al programma TUTOR, consentendo, in questo modo, al paziente di potersi sottoporre alla terapia al proprio domicilio, evitando di impegnare tempi e costi nei trasferimenti ed interferenze con la vita sociale e professionale.

#### ANALISI E MONITORAGGIO DEI TRATTAMENTI CON CHELANTI DEL FERRO IN PAZIENTI

##### AFFETTI DA BETA-TALASSEMIA

Giulio Lucchetta,<sup>1</sup> Luana Azara,<sup>1</sup> Mario Domenico Luigi Moretti,<sup>2</sup> Stefano Cortese,<sup>2</sup> Grazia Maria Rita Moretti,<sup>2</sup> Maria Elena Sanna<sup>2</sup>

<sup>1</sup>Chimica e Farmacia, Università di Sassari

<sup>2</sup>Farmaceutico, AOU, Sassari

**Introduzione.** La beta-talassemia, malattia ematologica rara a carattere ereditario, richiede frequenti trasfusioni di sangue e la somministrazione di chelanti del ferro, necessari ad evitare gli effetti dannosi da accumulo. Essa colpisce l'1,5 per cento della popolazione mondiale. In Italia i pazienti sono circa 6000 con elevata incidenza in Calabria, Emilia Romagna, Sicilia e Sardegna, con tassi intorno al 16 per cento. Obiettivo di questo lavoro è esaminare e monitorare la tipologia dei trattamenti effettuati a partire dal 2013, l'aderenza alla terapia in base alle caratteristiche dei pazienti, e l'impatto economico.

**Materiali e metodi.** È stata esaminata la documentazione clinica relativa ai pazienti in terapia chelante dal 2013 ad oggi. La spesa correlata è stata estrapolata dai flussi NSIS. I dati raccolti sono stati elaborati per genere, fasce d'età e trattamenti effettuati nell'arco di tempo considerato.

**Risultati.** I pazienti talassemici, assistiti nel periodo di osservazione, sono 113 (56 maschi e 57 femmine). Nel 75 per cento dei casi è stata praticata costantemente la terapia chelante con monitoraggio continuo attraverso accessi programmati. Nei restanti casi, il trattamento è stato discontinuo a causa di particolari condizioni cliniche dei pazienti. I casi trattati appartengono ad una fascia di età piuttosto ampia (da tre a ottantanove anni). In termini percentuali, quella maggiormente rappresentata è tra 18 e 50 anni (circa il 57 per cento del totale). I medicinali utilizzati sono Deferiprone (56 per cento delle dosi erogate), Deferasirox (40 per cento) e Deferoxamina (4 per cento). Un quinto dei pazienti, di età compresa tra i 3 e i 62 anni, ha effettuato una terapia combinata. I pazienti in monoterapia, nel periodo considerato, sono 76 (61 per cento con Deferasirox, 28 per cento con Deferoxamina e 12 per cento con Deferiprone) ed hanno in prevalenza una età più elevata. Sulla base dei dati clinici esaminati, solo il 12 per cento ha effettuato uno switch terapeutico per varie motivazioni. L'aderenza alla terapia prescritta risulta essere particolarmente alta (superiore al 90 per cento). Nel complesso, la spesa sostenuta è di 2.631.308 euro. Modeste variazioni nel tempo sono legate a switch terapeutici dal trattamento infusione verso quelli orali più costosi.

**Conclusioni.** La gestione dei pazienti affetti da beta-talassemia attraverso una adeguata programmazione degli interventi assistenziali, coordinati e multidisciplinari, consente l'allungamento delle attese di vita ed il miglioramento della sua qualità. Il percorso terapeutico in atto presso i centri di riferimento è risultato determinante ai fini della aderenza terapeutica, con riflessi positivi riguardo al monitoraggio, controllo e verifica delle risorse impegnate.

#### **SISTEMA INFORMATIVO MALATTIE RARE: UN IMPORTANTE STRUMENTO DI ANALISI EPIDEMIOLOGICA**

Anna Chiara Tardi, Antonio Trani, Giovanna Negri  
Servizio Farmaceutica Territoriale, Assistenza Farmaceutica, AUSL PR, Parma

**Introduzione.** Il Sistema Informativo malattie rare (SIMR), attivo nella Regione Emilia Romagna (RER) dal 2007, mette in rete i centri clinici autorizzati alla diagnosi, i servizi preposti al rilascio del certificato di esenzione dal pagamento del ticket per le prestazioni ritenute correlabili alla specifica patologia e i Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie, permettendo la completa informatizzazione delle prescrizioni farmaceutiche.

**Materiali e metodi.** Mediante consultazione del SIMR sono stati analizzati i piani terapeutici personalizzati (PTP) dei pazienti affetti da malattia rara residenti nella provincia di Parma e presi in carico dai servizi di distribuzione diretta dell'AUSL di Parma, dal 01/01/2014 al 31/12/2014. Sono stati stratificati i pazienti per classi di età. Sono stati valutati la distribuzione percentuale dei gruppi di patologie e l'indice di dipendenza dei pazienti dalle strutture di certificazione della provincia di Parma. È stato considerato inoltre l'incremento percentuale del numero di pazienti presi in carico, ed inseriti nel SIMR, rispetto agli anni 2012 e 2013.

**Risultati.** Nel periodo di riferimento sono stati presi in carico 137 pazienti. Nel 52,5% dei casi l'azienda certificatrice è l'Azienda Ospedaliera di Parma, nel 3,6% è l'Azienda USL di Parma; il 25,5% delle certificazioni è stato effettuato da un centro fuori provincia e il 18,2% da un centro fuori regione. Il 17,5% dei pazienti ha un'età compresa tra 0 e 14 anni, il 61,3% tra 15 e 64 e il 20,2% ha più di 65 anni. Per la maggior parte dei casi (48,9%) la diagnosi è di patologia rara a carico del sistema nervoso, in particolare le patologie maggiormente certificate sono la sclerosi laterale amiotrofica (27%) e la polineuropatia cronica

infiammatoria demielinizante (5,8%). Il 18,2% dei pazienti presenta una malformazione congenita, il 10,9% una malattia del metabolismo, il 5,1% una malattia del sangue e degli organi emopoietici. È stato rilevato un incremento del numero di pazienti pari al 110,7% rispetto al 2012 e del 50,5% rispetto al 2013.

**Conclusioni.** Più della metà dei pazienti è stata certificata da un centro che afferisce al territorio di Parma. La distribuzione percentuale dei gruppi di patologie segue un andamento in parte sovrapponibile a quello rilevato nell'intera RER e pubblicato nell'ultimo report di analisi dei dati di attività 2007-2014. Un'importante eccezione è costituita dalle malattie del sistema nervoso che nella provincia di Parma rappresentano quasi il 50% delle diagnosi, contrariamente a quanto si osserva nell'intero territorio regionale in cui a questo gruppo di patologie è ascrivibile il 15,5% delle certificazioni.

#### **L'IMPATTO DEGLI EXTRA-LEA NELL'ASSISTENZA ALLE PERSONE CON MALATTIE RARE: L'ESPERIENZA DELLA REGIONE VENETO**

Cinzia Minichiello, Francesca Naccari, Silvia Manea,  
Monica Mazzucato, Miriam De Lorenzi, Martina Bua, Paola Facchin  
Coordinamento Regionale, Registro Malattie Rare Regione Veneto, Venezia

**Introduzione.** Dal 2002, è attivo in Veneto un sistema che supporta la rete di assistenza e monitora i trattamenti prescritti ed erogati alle persone con malattie rare: esso è completamente informatizzato e collega tutti gli attori del SSR coinvolti nella presa in carico del malato raro (Centri accreditati, Distretti socio-sanitari, Servizi farmaceutici territoriali, Farmacie ospedaliere, altri Ospedali). Il Piano Terapeutico Personalizzato (PTP) è un modulo specificamente implementato all'interno della cartella clinica in rete del paziente, per la gestione di tutti i trattamenti prescritti di cui abbisognano tali pazienti, da quelli inclusi nei LEA (farmaci in fascia A, H, secondo Legge 648/96), a quelli previsti da protocolli regionali quali livelli aggiuntivi di assistenza fino a richieste per specifiche esigenze individuali di trattamenti extra-LEA. Tale modulo permette nel contempo di gestire tutte le funzioni connesse alla prescrizione: approvvigionamento, distribuzione, eventuale somministrazione e autorizzazione dei trattamenti extra-LEA.

**Materiali e metodi.** Sulla base dei dati registrati nel sistema informativo regionale, è stato analizzato l'impatto qualitativo della prescrizione di trattamenti essenziali non inclusi nei LEA per pazienti con malattia rara residenti in Veneto (periodo 2010-2015), allo scopo di mettere in luce particolari aree cliniche critiche in cui è più frequente il ricorso a farmaci off-label, esteri, galenici magistrali, trattamenti parafarmaceutici e dispositivi medici.

**Risultati.** Rispetto al totale delle prescrizioni registrate dal sistema, il 56% (15.368) riguarda trattamenti extra-LEA, sia previsti da integrazioni regionali ai LEA sia richiesti in autorizzazione in esenzione dal costo alle Aziende ULSS. Il 41% dei pazienti interessati è in età pediatrica, con bisogni terapeutici non sempre soddisfatti dai medicinali disponibili in commercio. Quasi il 77% delle prescrizioni extra-LEA copre le necessità terapeutiche di pazienti con malformazioni congenite (27,4%), malattie metaboliche (19,3%), neurologiche (16,9%) e oculari (13,1%). Solo il 46% dei trattamenti extra-LEA utilizzati dai malati rari sono farmaci (esteri, orfani, off-label, fascia C), il resto è costituito da parafarmaci (34%), galenici (6%) e presidi medicali (14%). La spesa regionale complessivamente registrata attraverso il sistema nel 2014 per gli extra-LEA ammonta a circa 1.125.000 euro.

**Conclusioni.** Attraverso il monitoraggio delle prescrizioni e di quanto erogato è possibile governare il sistema e garantire l'accesso alle terapie disponibili gestendo l'intero percorso assistenziale del paziente, analizzare l'impatto dei trattamenti prescritti extra-LEA e la sostenibilità regionale. Controllando a priori l'appropriatezza prescrittiva attraverso il metodo dei protocolli si può risparmiare liberando nuove risorse per poter prescrivere trattamenti aggiuntivi ai LEA.

**Bibliografia.** DGRV n. 740/2009; DGRV n. 3135/2009; DGRV n.2695/2014.

#### **VALUTAZIONE DEL RAPPORTO RISCHIO BENEFICIO E IMPATTO SULLA SPESA DEL RUXOLITINIB NEI PAZIENTI AFFETTI DA MIELOFIBROSIS**

Maria Teresa Carretta,<sup>1</sup> Chiara Naddeo,<sup>1</sup> Massimo Breccia,<sup>2</sup>  
Roberto La Tagliata,<sup>2</sup> Gaia Scerbo,<sup>1</sup> Enrica Arduini<sup>1</sup>  
<sup>1</sup>Farmacia satellite Ematologia, <sup>2</sup>DAI Ematologia, Oncologia,  
Anatomia Patologica  
e Medicina Rigenerativa, AO Policlinico Umberto I, Roma

**Introduzione.** La mielofibrosi è una malattia rara, appartenente alle "neoplasie mieloproliferative croniche", caratterizzata da fibrosi midollare, anemia e splenomegalia. Il ruxolitinib è il primo farmaco approvato per il trattamento della splenomegalia e dei sintomi correlati in pazienti con mielofibrosi primaria (MFI) e secondaria (post-trombocitemia essenziale (PTE) o post-policitemia vera (PPV)). Questo lavoro valuta gli esiti clinici relativi alla riduzione della splenomegalia (almeno sopra il 35% del volume splenico rispetto al basale, entro i primi 6 mesi), dei sintomi correlati e l'impatto economico relativo al primo quadrimestre 2015.

**Materiali e metodi.** Dal 2011 sono stati trattati 33 pazienti affetti da MF con ruxolitinib, 30 dei quali inseriti nel protocollo clinico JUMP. Di questi 7 sono usciti dallo studio prima dell'AIC del farmaco, 7 ritirano ancora il farmaco in expanded access e 16 proseguono terapia fuori protocollo, cui si sono aggiunti 3 nuovi pazienti. Dal database degli ematologi e dai Registri AIFA abbiamo estrapolato i dati clinici per i 19 pazienti che ritirano il farmaco presso la farmacia da gennaio 2015: età media, tipo di diagnosi, rischio prognostico in base all'International Prognostic Scoring System (IPSS), stato mutazionale JAK2, dose iniziale calcolata sulla conta piastrinica, riduzioni per tossicità ematologica, risposta su milza e sintomi. Dall'agenda informatizzata della farmacia e il sistema informativo EUSIS sono stati valutati i costi diretti.

**Risultati.** Della popolazione esaminata, 10 pazienti presentavano MFI, 4 MF-PPV e 5 MF-PTE. In base all'IPSS, il 68% risultava al baseline rischio intermedio-2 ed il 32% alto rischio: il 37% dei pazienti presentava la mutazione V617F di JAK2. L'endpoint primario di riduzione dei sintomi si è ottenuto nel 95% dei pazienti, il 32% ha presentato una riduzione clinicamente significativa (> 35%) della splenomegalia. Una sola paziente è risultata resistente, invece un paziente con MF-PPV ed IPSS intermedio-2 ha mostrato una risposta completa con risoluzione completa della fibrosi a 17 mesi dall'inizio del farmaco. Il 37% dei pazienti ha ridotto il dosaggio per tossicità ematologica di grado 3 secondo WHO (3 per piastrinopenia e anemia, 3 per piastrinopenia ed 1 per neutropenia), senza altre tossicità extra-ematologiche. In base ai criteri di risposta IWG, il 57% della popolazione esaminata ha presentato miglioramento clinico, il 42% stabilità di malattia. La spesa complessiva nel primo quadrimestre 2015 è stata di €223.193, soggetta a payment by results a 6 mesi.

**Conclusioni.** Trattandosi di una patologia debilitante e progressiva, questi risultati sembrano incoraggianti, con bilancio positivo sul rapporto rischio/beneficio e costo/efficacia. L'elevato impatto economico potrebbe essere quindi giustificato dal fatto che il follow up a quattro mesi ha evidenziato un miglioramento della qualità di vita, con riduzione dei sintomi, della splenomegalia e della fibrosi midollare.

#### ANALISI DELLE PRESTAZIONI EROGATE AI PAZIENTI AFFETTI DA PATOLOGIE RARE PRESSO IL DISTRETTO CT1 DELL'ASP DI CATANIA

Maria Pia Salanitro,<sup>1</sup> Anna Maria Alabiso,<sup>1</sup> Giovanni Carlo Maria Finocchiaro,<sup>1</sup>

Giovanna Briguglio,<sup>2</sup> Carla Bonaccorsi,<sup>2</sup> Franco Rapisarda<sup>3</sup>

<sup>1</sup>Servizio Farmacia Distretto Ospedaliero CT1, ASP CT, Catania

<sup>2</sup>Scuola di Specializzazione in farmacia ospedaliera, Università di Catania

<sup>3</sup>Dipartimento del Farmaco, ASP CT, Catania

**Introduzione.** Le malattie rare (MR) costituiscono un ampio gruppo di affezioni a bassa prevalenza nella popolazione (5 casi su 10.000 abitanti) con dei percorsi diagnostici spesso scarsamente definiti e strumenti terapeutici talvolta incerti. A livello nazionale, il D.M. n.279/2001, ha disciplinato le modalità di esenzione dalla partecipazione al costo delle MR per le correlate prestazioni di assistenza sanitaria incluse nei LEA, ha previsto l'istituzione di una rete e di un registro nazionale, ha incluso le malattie rare in uno specifico elenco, con i relativi codici di esenzione. In Sicilia, l'Assessorato alla Salute ha normato l'erogazione a favore dei pazienti affetti da Malattie Metaboliche Rare di farmaci e prodotti destinati ad una alimentazione particolare (decreto n.1262/2007). Con successivo decreto (n.2679/2009) sono state definite le modalità operative per l'erogazione di farmaci in fascia "C" ed off-label a favore dei pazienti con Malattie Rare. La dispensazione avviene in forma diretta tramite i Servizi Farmaceutici di residenza dei pazienti. L'obiettivo del lavoro è stato quello di analizzare le prescrizioni allo scopo di stimare la prevalenza delle patologie e valutare la spesa sostenuta.

**Materiali e metodi.** Sono state esaminate le prescrizioni dei centri afferenti alla rete nazionale delle malattie rare, pervenuti nell'anno 2014 alla farmacia del Distretto-CT1 (220.500-abitanti).

**Risultati.** Per il periodo in esame, i pazienti (pz) sono risultati 104 (0,05%), di cui 11 trattati da Centri fuori regione. Dei pazienti (59 maschi e 45 femmine), il 21,2% ha un'età compresa tra 0-19anni, il 34,61% tra 20-39anni e il 44,2% tra 40-60anni. Le 12 MR individuate nel distretto sono così distribuite: RD-malattie del sangue (32pz); RC-malattie delle ghiandole endocrine (27pz); RF-malattie del Sistema Nervoso (17pz); RN-malformazioni congenite (14pz); RJ-malattie apparato genitourinario (5pz); RB-tumori (1pz); RM-malattie sistema-ostearticolare (1pz). Alcuni pazienti presentano MR non ancora codificate: ipertensione polmonare (4pz); Sindrome di Cushing (1pz); Sindrome di Lesch-Nyhan (1pz). La spesa totale è stata di €2.419.686,7: farmaci "H" (€2.111.849,8), farmaci "A" (€277.243,15), farmaci "C" (€22.005,95), parafarmaci (€5.930,5), preparati galenici (€2.657,3). Le tipologie di MR che hanno implicato la spesa maggiore sono state: RC (€1.069.244,35), RF (€96.668,978) e RD (€662.214,34).

**Conclusioni.** Il monitoraggio delle terapie per MR permette una gestione costo-efficace delle stesse. Le peculiarità epidemiologiche-terapeutiche di queste patologie richiederebbero un loro approccio multidisciplinare, diagnostico-terapeutico-assistenziale, al fine di migliorare la qualità delle cure erogate. Sarebbe auspicabile l'inserimento della figura del farmacista nell'elaborazione dei PDTA regionali e la stesura di elenchi di farmaci ed altri prodotti, appropriati per ciascuna malattia rara essentata.

#### CASE REPORT: GESTIONE PRESSO UN'AZIENDA OSPEDALIERA UNIVERSITARIA DI UNA MALATTIA RARA SYNDROME PAPA

(Pyogenic Arthritis, Pyoderma gangrenosum and Acne)

Andrea Marinozzi,<sup>1</sup> Celestino Bufarini,<sup>1</sup> Sabrina Guglielmi,<sup>1</sup>

Simone Leoni,<sup>1</sup> Eugenio Tempesta,<sup>1</sup> Adriana Pompilio,<sup>1</sup>

Angela Garzone,<sup>1</sup> Mauro Jorini,<sup>2</sup> Bianca Lattanzi,<sup>2</sup>

Silvana Bolognini,<sup>3</sup> Daniela Di Florio<sup>3</sup>

<sup>1</sup>Farmacia Interna, <sup>2</sup>Pediatria Divisione, <sup>3</sup>Comitato Etico Unico Regione Marche, AOU Ospedali Riuniti di Ancona

**Introduzione.** Lo studio Case Report riguarda un paziente pediatrico di anni 16, affetto dall'età di 4 anni dalla Sindrome PAPA. Una rara forma genetica (malattia rara codificata ICD9CM:7108), trasmessa con modalità autosomica dominante, caratterizzata da episodi di artrite, lesioni cutanee asessuali compatibili con pioderma gangrenoso e acne grave. Diagnosticata all'età di 10 anni da indagine genetica che evidenziava la presenza di mutazione E250K a carico del gene che codifica per la proteina 1 (PSPTIP1).

**Materiali e metodi.** Lo studio è stato effettuato analizzando il periodo che va dal 2011 fino a tutt'oggi, ed è stata condotta un'analisi utilizzando indicatori clinici, indicatori farmacologici e indicatori farmaco-economici.

**Risultati.** -Da Maggio ad Agosto 2011 è stato utilizzato Adalimumab, un farmaco anti-TNF-alfa, con risultati insoddisfacenti per un costo di €1.433 per tutta la durata del trattamento. -Da Gennaio 2012 è iniziata una terapia fuori indicazione, autorizzata dal Comitato Etico Aziendale, con Anakinra (antagonista del recettore dell'interleukina-1), 100mg al gg per via sottocutanea. Generando inizialmente un rapido miglioramento degli indici di flogosi, ma successivamente, dal 2013, causa una compliance terapeutica scarsa, sono comparse lesioni alla gamba destra (pioderma gangrenoso) e alla palpebra inferiore dex, gestite con medicazioni avanzate specifiche ed eseguendo interventi di chirurgia plastica contenitiva. La spesa farmacologica è stata di €3.614,76. Da luglio 2014, per ovviare alle problematiche di compliance presenti, è stata modificata la terapia (autorizzata sempre dal Comitato Etico Aziendale) con un altro antagonista del recettore dell'interleukina-1, chiamato Canakinumab con un'infusione ev mensile di 150mg. Migliorando da subito la condizione psico-sociale del paziente, l'aderenza alla terapia, esami ematochimici pressoché nella norma e la quasi scomparsa delle lesioni presenti. La spesa Farmacologica di tale farmaco per il 2014 €66.900,9 e per il 2015 €55.750,75. Facendo un'analisi dei dati, si ha: -in seguito ai trattamenti farmacologici, all'assistenza sanitaria e agli interventi chirurgici ricevuti si sono avuti progressivamente evidenti benefici clinici ed ematochimici; -si sono susseguiti tre trattamenti farmacologici; -la spesa farmaco economica sostenuta è rimasta invariata fino alla metà del 2014; successivamente si è avuto un incremento della spesa del 520% e progressivamente in aumento per i primi 5 mesi del 2015, causa il notevole costo del farmaco Canakinumab.

**Conclusioni.** Dallo studio si evince un case report complesso che ha fatto mettere in campo importanti interventi medico assistenziali, sanitari, chirurgici e farmacologici, ottenendo notevoli benefici clinici ad un paziente pediatrico, affetto da una

malattia rara incurabile che progressivamente risulta essere debilitante.

#### **ANALISI DELLA SPESA PER L'ASSISTENZA FARMACEUTICA DEI MALATI DI FIBROSI CISTICA ALL'INTERNO DEL PRESIDIO OSPEDALIERO DI MESTRE-ULSS 12 VENEZIANA**

Eleonora Cella,<sup>1</sup> Federica Marcatò,<sup>2</sup> Nerina Burlon<sup>2</sup>

<sup>1</sup>Scuola di specializzazione in farmacia ospedaliera, Università di Padova

<sup>2</sup>Farmacia Ospedaliera, ULSS 12 Veneziana, Venezia

**Introduzione.** La Fibrosi Cistica (FC) è una malattia genetica ereditaria, causata da un difetto della proteina CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator) deputata al regolamento degli scambi idroelettrolitici, la cui alterazione comporta la produzione di secrezioni disidratate. Poiché diversi sono gli organi interessati, in particolare l'apparato respiratorio e il pancreas, questa tipologia di pazienti necessita di una grande varietà di prodotti farmaceutici e non. Obiettivo di questo studio è stato valutare e confrontare l'impatto della spesa per farmaci, parafarmaci, infusionali e dispositivi medici (DM), considerando le confezioni dispensate nel 2014 ai pazienti afferenti al servizio di distribuzione diretta. Tale analisi si può collocare all'interno del progetto della Regione Veneto di stilare un prontuario regionale FC, come strumento per gestire ed ottimizzare l'assistenza farmaceutica dei malati.

**Materiali e metodi.** Con l'ausilio del gestionale NFS e utilizzando il centro di costo FC, sono stati estratti i dati relativi alle confezioni totali di farmaci, parafarmaci, infusionali e DM dispensate nell'anno 2014, tramite il servizio di distribuzione diretta dell'ospedale. I dati sono stati successivamente elaborati per poter eseguire un'analisi dell'impatto delle varie classi considerate sulla spesa totale sostenuta per la FC.

**Risultati.** I pazienti individuati sono risultati 21. La spesa totale nel 2014 è stata di 155.005,36€ con un costo medio per paziente pari a 7.381,21€. Circa l'88% è attribuibile all'erogazione di farmaci (136.349,29€); i DM e i parafarmaci incidono in maniera simile (6%) mentre gli infusionali sono pressoché irrilevanti (283,72 €). Tra i farmaci, gli antibiotici pesano maggiormente sulla spesa e in modo particolare quelli inalatori: solo il colistimetato sodico e l'aztreonam detengono il 21% e il 20% del totale. Il DM con il costo più rilevante è risultato una soluzione ipertonica a base di acido ialuronico (8.500€) mentre tra i parafarmaci, la spesa maggiore è associata ad un polivitaminico (5.456,6€) e ad un integratore omega 3 (2.204,91€). Per gli infusionali, l'acqua PPI-500 ml influisce maggiormente sul totale della spesa (143,51€), sebbene questa non sia eccessiva.

**Conclusioni.** Nell'ottica del miglioramento della qualità di vita dei pazienti affetti da FC, l'obiettivo futuro sarà quello di continuare il monitoraggio della spesa dedicata all'assistenza farmaceutica dei malati, in linea con l'iniziativa della Regione Veneto di redigere un prontuario con lo scopo di garantire una gestione costo-efficace delle diverse terapie, allocando al meglio le risorse disponibili ma garantendo al tempo stesso il miglior trattamento possibile ai pazienti.

#### **DISTRIBUZIONE DIRETTA AI PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIE RARE NELLE FARMACIE DELL'AREA NORD DELL'ASL DI SALERNO: STATO DELL'ARTE**

Ilaria Barbato,<sup>1</sup> Maria Luigia Cerulli,<sup>2</sup> Gabriella Galizia,<sup>3</sup> Margherita Aruta,<sup>1</sup> Alfonso De Angelis,<sup>1</sup> Francesca Pennino,<sup>1</sup> Carmela Criscuolo,<sup>1</sup> Annarita De Angelis,<sup>1</sup> Vincenzo Del Pizzo,<sup>4</sup> Mariarosaria Cillo<sup>5</sup>

<sup>1</sup>Servizio farmaceutico territoriale, ASL, Salerno

<sup>2</sup>Scuola di specializzazione in farmacia ospedaliera, Università, Salerno

<sup>3</sup>ASL Salerno, P.O. Tortora,

<sup>4</sup>S.S. Farmaceutica Convenzionata, ASL, Salerno

<sup>5</sup>S.C. Coordinamento Assistenza Farmaceutica, ASL, Salerno

**Introduzione.** Il D.M. 279/2001 ha istituito la Rete Nazionale delle Malattie Rare presso l'Istituto Superiore di Sanità al fine di assicurare un'assistenza specifica ai soggetti affetti da tali patologie. La Regione Campania ha individuato 11 presidi di riferimento regionale per le malattie rare (DGRC n. 1362/2005) i cui compiti principali sono: la certificazione della patologia rara ai fini dell'esenzione, la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia e un centro di Coordinamento Regionale presso l'A.O.U. Federico II (DGRC n. 2109/2008). La Normativa regionale prevede, per la distribuzione diretta in farmacia distrettuale che, oltre a farmaci di fascia A, eventuali farmaci OSP e alimenti

destinati ai fini medici speciali, possano essere erogati a carico del SSR farmaci di fascia C (D.C. 43/2010 ) ai soggetti affetti da una delle malattie rare comprese nell'allegato n. 1 del D.M. 279/2001. Per le restanti categorie, ossia galenici, dispositivi medici e parafarmaci la valutazione dell'erogabilità è demandata, nell'ASL di Salerno, al Direttore responsabile del Distretto di residenza del paziente e al Dirigente Farmacista. Obiettivo di questo lavoro è stato mappare nel 2014 la distribuzione ai pazienti affetti da malattie rare di farmaci, integratori, dispositivi medici, alimenti e galenici nelle farmacie distrettuali dell'Area Nord dell'ASL di Salerno.

**Materiali e metodi.** Sono state analizzate le prescrizioni del 2014 attraverso il gestionale aziendale AREAS e attraverso l'analisi dei singoli piani terapeutici. Attraverso una procedura ad hoc in access è stata analizzata la tipologia di erogazione.

**Risultati.** Nel 2014 i pazienti affetti da malattie rare che hanno avuto accesso alle farmacie distrettuali dell'Area Nord dell'ASL Salerno sono stati 206 di cui 95 femmine (46,13 %) e 111 maschi (53,88 %), con età media di 42 anni, le malattie più rappresentate sono la talassemia (14,56%) e la fibrosi cistica (5,8%). Nel 2014 sono stati distribuiti farmaci di fascia A per un costo di € 119.923,31, di fascia C per € 134.231,6, galenici per € 2.598, farmaci esteri per € 55.975,28, dispositivi per € 62.073,25, alimenti ai fini medici speciali per € 18.335,05. Tutto quanto distribuito è specifico ed insostituibile per la cura della patologia.

**Conclusioni.** L'esame delle prescrizioni dimostra che al paziente affetto da patologie rare viene erogato dalle farmacie distrettuali quanto previsto dai LEA e dall'analisi dei dati emerge che attraverso un percorso ad hoc effettuato all'interno di ogni singolo Distretto il paziente riceve anche farmaci di fascia C, dispositivi medici, e galenici specifici per la cura della malattia rara.

#### **LA RETE REGIONALE DELLE MALATTIE RARE IN SICILIA: FOCUS SULLA REALTÀ CLINICA ED ASSISTENZIALE**

Elisa Marletta

Farmacista Ospedaliera

**Introduzione.** Le malattie rare (MR) rappresentano un gruppo estremamente ampio ed eterogeneo di patologie che colpiscono un gruppo ristretto di pazienti e che sono accumulate tra loro, oltre che per la bassa incidenza e prevalenza, anche per le evidenti problematiche cliniche ed assistenziali di gran lunga maggiori rispetto a patologie più diffuse. In Sicilia, con il D.A. 781 del 29.04.2011, è stato istituito il Registro Regionale delle Malattie Rare (RRMR) che ha, tra i compiti principali, quello di raccogliere dati per definire le dimensioni del problema, stimare il ritardo diagnostico e la mobilità sanitaria dei pazienti, supportare la ricerca clinica e promuovere il confronto tra operatori sanitari per la definizione di protocolli diagnostici e terapeutici. Obiettivo del lavoro è analizzare i dati relativi ai pazienti affetti da MR residenti in Sicilia a partire dal 2011 al fine di tracciare un quadro più chiaro della condizione clinico-assistenziale attuale.

**Materiali e metodi.** Attraverso l'analisi dei report annuali presentati dall'Assessorato della Salute della Regione Siciliana, Dipartimento Attività Sanitarie e Osservatorio Epidemiologico - Servizio 7, è stata svolta un'indagine retrospettiva per approfondire la realtà clinica delle MR in Sicilia. I dati sono stati raccolti a partire dal 2011, anno di istituzione del RRMR, e risultano aggiornati ad Ottobre 2014.

**Risultati.** Allo stato attuale il RRMR della regione Sicilia conta 7882 pazienti. Le patologie segnalate sono circa 300. Le prime 10 MR più frequentemente riscontrate risultano in ordine: sindrome di Down (665 casi); sindromi da duplicazione/deficienza cromosomica (367 casi); talassemie (353 casi); deficienza congenita dei fattori della coagulazione (338 casi); sclerosi laterale amiotrofica (328 casi); connettiviti indifferenziate (327 casi); disordini ereditari trombofilici (283 casi); difetti ereditari della coagulazione (277 casi); anomalie congenite multiple con ritardo mentale (256 casi); anemie ereditarie (255 casi). Il 44,6% delle diagnosi di MR viene effettuato nella fascia d'età compresa tra 0 e 9 anni e, sebbene i dati siano probabilmente ancora incompleti, si nota una maggiore presenza di MR nelle provincie di Catania e Messina.

**Conclusioni.** È interessante notare come su un gruppo eterogeneo di 300 patologie, le prime 10 malattie più segnalate annoverino complessivamente tra di loro oltre il 43,75% dei pazienti; questo ad ulteriore dimostrazione dell'estrema variabilità ed eterogeneità epidemiologica nel campo delle malattie rare. Il confronto con i dati nazionali mostra una buona risposta alla rilevazione ed è evidente come un'adeguata programmazione di interventi a favore dei pazienti sia possibile



solo analizzando la dimensione e l'impatto delle MR in termini sanitari ed assistenziali.

**Bibliografia.** Fonte: Regione Siciliana – Assessorato della Salute – Dipartimento Attività Sanitarie e Osservatorio Epidemiologico, Servizio 7 "Osservatorio Epidemiologico".

## MANAGEMENT

### IL DRUG-DAY COME STRUMENTO DI GESTIONE CLINICA ED ECONOMICA

Daniela Ciccarone, Maria Pascale

U.O. Farmacia Ospedaliera, IRCCS S. De Bellis, Castellana Grotte (BA)

**Introduzione.** Da un'analisi effettuata sulla spesa sostenuta per i farmaci oncologici dall'IRCCS, si è rilevato che, nei primi 6 mesi del 2014, il 57,53% era attribuito a Herceptin®, Abraxane®, Halaven® ed Avastin® e che la loro somministrazione non prevedeva programmi di calendarizzazione per ottimizzarne la gestione. Per favorire una migliore organizzazione delle attività di allestimento ed una riduzione degli sprechi, in collaborazione con l'Oncologia Medica e nel rispetto della compliance del paziente, è stato avviato un percorso per l'introduzione graduale del drug-day, concentrazione in giornata delle terapie con lo stesso farmaco.

**Materiali e metodi.** Al fine di individuare i giorni ricorrenti di terapia, sono state monitorate le preparazioni di 9 Herceptin®, 4 Abraxane®, 3 Halaven® ed 99 Avastin® effettuate dal 29 dicembre 2014 al 13 febbraio 2015 con l'ausilio di un modulo dedicato ove riportare, per ciascun paziente, i mg prescritti ed il numero di fiale utilizzate. Tale analisi ha consentito di proporre ai medici il venerdì per la somministrazione di Herceptin®, Abraxane® ed Halaven® e di suggerire l'eliminazione del giovedì per l'Avastin®, a causa del numero esiguo di pazienti. Sulla base delle necessità dei pazienti, si è ritenuto di mantenere la somministrazione di Halaven il lunedì. Successivamente, altri preparati di 107 Avastin®, 8 Abraxane®, 6 Halaven® e 8 Herceptin® sono stati monitorati con le stesse modalità fino al 31 marzo 2014 valutando l'andamento dei residui rispetto al periodo precedente e l'osservanza del giorno di somministrazione.

**Risultati.** Nei due periodi considerati, i residui di Avastin®, Abraxane®, Halaven® e Herceptin® hanno subito un'oscillazione del -0,47%(€723,131), -5,88%(€243,22), +1,33%(€121,93), +1,45%(€97,288). Il numero di preparazioni di Avastin® è variato del -8,36% il lunedì, +6,08% martedì, -5,14% mercoledì, +4,57% giovedì, -4,63% venerdì. Nel secondo periodo di monitoraggio l'11,11% dei trattamenti con Avastin® è stato effettuato il giovedì, giorno con meno trattamenti; la somministrazione del venerdì di Abraxane®, Halaven® ed Herceptin® è stata applicata rispettivamente nel 0%, 50% e 37,5% dei casi. La somministrazione di Halaven® è stata effettuata il lunedì nel 50% dei casi.

**Conclusioni.** Dall'analisi effettuata, si è constatato che, il percorso di sensibilizzazione avviato con gli infermieri ed i medici, nonostante uno scarso rispetto della giornata stabilita, ha consentito un risparmio netto di €747,133, di confermare il giovedì quale giornata in cui sospendere l'Avastin® e, a causa delle scarsa aderenza, di rivalutare la giornata di somministrazione di Halaven®, Abraxane® ed Herceptin® in un apposito incontro con gli operatori coinvolti.

### MANAGEMENT IN AMBITO ONCOLOGICO: ANALISI E... CONSIDERAZIONI NEL CONTESTO DI UN'AZIENDA SANITARIA LOCALE

Adriana Fusco, Cecilia Fasiello, Isabella D'Amico, Maria Gargiulo, Claudia Perretti, Debora Delle Donne, Carla Nicolucci  
Farmacia, ASL NA1 Centro, Napoli

**Introduzione.** L'innovazione farmaceutica pone nuove sfide per la sostenibilità economica soprattutto nell'ambito oncologico in cui è indispensabile risolvere l'antitesi garantendo accessibilità e appropriatezza. Il contesto di riferimento è il polo oncologico di un'ASL, la cui popolazione afferente supera il milione di soggetti. Obiettivi: procedere all'analisi oggettiva dei dati relativi agli ultimi tre anni per valutare l'andamento temporale dei consumi ospedalieri quali-quantitativi-economici e trarre spunti di interesse in favore delle strategie decisionali e programmatiche.

**Materiali e metodi.** Strumenti di acquisizione dei dati: il modulo informatico dedicato al file F (farmaci, sottoposti a monitoraggio, per i quali è previsto il rimborso da parte della Regione) e il gestionale aziendale, utilizzato per movimentare tutti i medicinali, comprese altre formulazioni oncologiche. Dal primo si generano stampe riepilogative, per ciascun anno dal 2012 al 2014, per

singolo nome commerciale, con dettaglio N° milligrammi, erogazioni, assistiti e costi; dal secondo, dati relativi agli oncologici non contemplati nella delibera regionale fra cui quelli innovativi ad alto costo, attualmente esclusi. Si passa all'elaborazione di tabelle comparative.

**Risultati.** L'andamento economico complessivo è congruente rispetto all'attività assistenziale ed è favorito dall'introduzione degli equivalenti: anno2012 €1.881.589; anno2013 €2.035.431; anno2014 €2.281.781. Il trend delle formulazioni innovative, quali cabazitaxel, eribulina, paclitaxel/albumina, pertuzumab, trabectedina, vinflunina, è decisamente crescente; anno2012 €154.067 per 8pazienti, anno2013 €216.039 per 11pazienti, fino a rappresentare il 14,2% del dato complessivo nell'anno 2014, con €324.376 per 17 pazienti; l'incremento del loro valore economico, pertanto, nel 2014 rispetto al 2012, è pari al 47,5 %. Grazie a taluni equivalenti subentrati ai branded, viceversa, si è passati, solo nella gestione FileF, per analogo numero di trattamenti, da € 156.541 del 2012 ad € 29.148 del 2014 con decremento pari all'81,38%.

**Conclusioni.** L'analisi dei dati esprime coerenza rispetto alle prestazioni assistenziali, evidenziando risvolti positivi e indubbie criticità: l'introduzione degli equivalenti consente una riduzione consistente della spesa, quindi un'evidente opportunità di riallocare le risorse economiche tesaurizzate in favore dell'innovazione; la criticità considerevole scaturisce dalla mancata revisione dell'elenco nella delibera regionale che, pertanto, disattende le iniziali finalità ispiratrici: monitoraggio quali-quantitativo-economico degli innovativi/alto costo e parziale rimborso alle AA.SS.LL/OO. Ciò si auspica non rappresenti un atto di tutela della Regione; in sanità, infatti, interessi forti, apparentemente diversi, tendono a contrapporsi nel contendersi risorse già esigue; il decisore, quindi, deve governare la domanda secondo criteri metodologicamente robusti che favoriscano l'equilibrio fra le componenti, nell'ottica di un'area di condivisione ideale orientata alla sostenibilità del sistema e all'equilibrata assistenziale.

### UN ESEMPIO DI VALORIZZAZIONE ECONOMICA DELLE ATTIVITÀ DEL FARMACISTA ONCOLOGICO

Giulia Burrioni,<sup>1</sup> Sonia Mariotti,<sup>2</sup> Anna Maria Poli<sup>1</sup>

<sup>1</sup>AO Ospedali Riuniti Marche Nord, Servizi, Ancona

<sup>2</sup>Università Carlo Bo, Urbino

**Introduzione.** La valorizzazione delle prestazioni delle Farmacie Ospedaliere è un sistema di tariffazione puramente indicativo e non vincolante, tanto che nella maggior parte delle realtà ospedaliere non viene valutata l'ipotesi di calcolare, neppure virtualmente, una possibile base tariffaria. Nell'ottica di dare una significatività economica, ancorché non finanziaria, alle prestazioni rese dal Farmacista Ospedaliero, si propone, in analogia con il DRG delle prestazioni mediche, un sistema di tariffazione che può essere applicato alle preparazioni galeniche oncologiche.

**Materiali e metodi.** Si è assunto come base di calcolo il tariffario nazionale di cui alla Tabella degli onorari professionali, ipotizzando la prestazione di n.1 farmacista e n. 2 operatori tecnici; fra gli elementi in essa indicati si sono sommati l'onorario del farmacista per le preparazioni liquide fino a due componenti (euro 3,45 x 1 farmacista), l'addizionale dovuta per sostanze velenose (euro 1,55 x 3 operatori) e l'addizionale per preparazioni sterili (euro 1,81 x 3 operatori). A quanto risultante è stato sommato il calcolo forfettario relativo all'onorario degli operatori tecnici, ottenuto riducendo del 30% - in ordine alla diversa responsabilità nel processo - l'onorario del farmacista (euro 2,46 x 2 operatori). Il costo totale di una preparazione oncologica (dato dalla somma degli onorari e delle addizionali moltiplicate per il numero degli operatori coinvolti) corrisponde a euro 18,45. Ad esso andranno naturalmente sommati i costi variabili, quali il costo del farmaco, del contenitore e del packaging.

**Risultati.** Da gennaio a dicembre 2014 il laboratorio ha ricevuto dai Reparti del Presidio n. 6.536 prescrizioni ed allestito n. 10.077 preparazioni personalizzate. Partendo dal presupposto che ciascuna preparazione abbia un costo fisso di euro 18,45, è possibile impostare una analisi di costi e ricavi dell'attività riferita al numero di preparazioni allestite dal laboratorio. Diviene altrettanto possibile, sottraendo dai ricavi totali i costi totali (personale, spese correnti, scarti di produzione, ecc.), calcolare il relativo margine per l'Azienda: nel caso in esame il margine risulta positivo per euro 29.317,20.

**Conclusioni.** Attribuire un valore fisso standard alle prestazioni degli operatori addetti all'allestimento dei farmaci oncoematologici (farmacisti, infermieri, tecnici di farmacia), tale da costituire una base di riferimento per una corretta