

La legge 648/96: farmaci a carico del SSN per patologie prive di valida alternativa terapeutica

La Commissione Unica del Farmaco con provvedimento datato 20 luglio 2000, pubblicato nella GU n. 219 del 19/09/00 con *errata corrige* sulla GU n. 232 del 04/10/00, ha istituito, ai sensi della legge 648/96, un elenco di medicinali erogabili a totale carico del SSN, allo scopo di rispondere tempestivamente a situazioni di carenze terapeutiche, ovvero patologie per le quali "non esista valida alternativa terapeutica". In tale elenco, aggiornato periodicamente dalla Commissione, possono essere inseriti medicinali per i quali siano disponibili i risultati di studi clinici di fase II con le seguenti caratteristiche:

- a. medicinali innovativi la cui commercializzazione è autorizzata all'estero ma non sul territorio nazionale;
- b. medicinali sottoposti a sperimentazione clinica;
- c. medicinali da impiegare per un'indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata.

Da quanto sopra premesso, appare evidente come la sorveglianza epidemiologica sul loro impiego diventi essenziale, in quanto tali medicinali rivestono un'importanza prioritaria, in patologie caratterizzate dall'assenza di valide terapie, in un ambito di utilizzo che riguarda prevalentemente malattie rare, ed in un'ottica di protezione della salute del paziente.

Poiché i medicinali inseriti in elenco non sono valutati da questo Ministero sotto il profilo della qualità, sicurezza ed efficacia ai fini dell'autorizzazione all'immissione in commercio per l'indicazione terapeutica proposta, si ritiene opportuno procedere ad una verifica periodica della loro sicurezza e ad un'analisi costante del quadro complessivo delle risposte terapeutiche in patologie gravi e caratterizzate da una situazione di incertezza terapeutica.

A tal fine, nei singoli provvedimenti ministeriali concernenti l'inserimento di detti medicinali, sono specificati gli indicatori che si ritiene opportuno monitorare. Per svolgere questa attività di monitoraggio clinico è prevista l'istituzione di appositi Registri da parte delle strutture sanitarie prescrittrici, i cui dati raccolti devono essere inviati trimestralmente al Dipartimento per la Valutazione dei Medicinali e la Farmacovigilanza, in un contesto di collaborazione con i clinici. La Commissione Unica del Farmaco procederà ad una verifica periodica di questi dati che, si ricorda, sono di competenza del Ministero della Sanità, e deciderà in merito al mantenimento o all'esclusione di un medicinale dall'elenco stesso, in un'ottica di sorveglianza attenta delle possibilità terapeutiche a disposizione.

L'inserimento di un medicinale nell'elenco può avvenire su iniziativa della CUF o su proposta di Associazioni di malati, Società scientifiche, Aziende sanitarie, Università, Istituti di ricovero e cura a carattere scientifico.

Per esprimere il proprio parere in relazione ad una domanda di inserimento di un medicinale nell'elenco, la CUF richiede un'articolata documentazione di supporto che deve comprendere:

- a. una relazione di carattere scientifico sulla patologia che ne evidenzia la gravità e l'assenza di una valida alternativa terapeutica;
- b. la descrizione del piano terapeutico proposto;
- c. i dati indicativi sul costo del trattamento per paziente (mensile o per ciclo di terapia);
- d. lo stato autorizzativo del medicinale in Italia ed all'estero con l'indicazione dell'azienda produttrice o fornitrice;
- e. la documentazione disponibile, quale: pubblicazioni scientifiche, risultati di studi clinici di fase prima e seconda, con riferimento anche alla qualità e sicurezza del medicinale, informazioni concernenti sperimentazioni cliniche ancora in corso.

Altro aspetto di particolare rilievo è rappresentato dall'informazione da fornire al paziente, acquisendo il consenso informato scritto secondo le modalità di cui all'allegato 1 al provvedimento del 20/07/00, con un attento riguardo alle aspettative che si vanno a creare e al rispetto della volontà del paziente.

La dispensazione di questi medicinali, erogabili a carico del SSN nell'ambito della spesa programmata per l'assistenza farmaceutica, entro un onere di trenta miliardi di lire per anno, può essere effettuata dal Servizio farmaceutico delle strutture prescrittrici oppure dal Servizio farmaceutico dell'Azienda sanitaria locale di residenza dei pazienti che vi provvede nell'ambito dell'assegnazione del Fondo sanitario, disposta dalla Regione anche tenendo conto della distribuzione sul territorio dei pazienti di cui trattasi (v. Circolare del Ministero della Sanità 30/08/99, n. 13, pubblicata nella GU n. 297 del 20/12/99).

Da ricordare, inoltre, il monitoraggio dei dati di spesa per il quale è prevista la trasmissione trimestrale al Dipartimento per la Valutazione dei Medicinali e la Farmacovigilanza, da parte degli Assessorati alla Sanità utilizzando l'apposito Modulo che fa parte integrante del succitato provvedimento 20/07/00.

Tabella 1. Medicinali a totale carico del SSN ai sensi della legge 648/96 alla data del 07/11/00

Medicinale	Patologia	GU n./anno
Ac. Cis-Retinoico	Trattamento adiuvante neuroblastoma stadio 3° e 4°	219/00 Err. Corr. 232/00
Adenosin-Deaminasi (Adagen)	Immunodeficienza combinata grave da deficit di adenosindeaminasi	51/99
Arginina	Patologie conseguenti a difetti enzimatici del ciclo dell'urea	237/97 58/00
Ciclosporina A	Nefrite lupica	297/99
Epoetina Alfa E Beta	Emoglobinuria parossistica notturna	58/98
Epoetina Alfa E Beta	Sindromi mielodisplastiche	58/00
Interferone Alfa Naturale	Linfoma cutaneo a cellule T	133/99
Interferone Alfa Ricombinante	Particolari Emangiomi	237/97 50/99
Interferone Alfa Ricombinante	Forme refrattarie M. di Behcet	237/97 92/99
Interferone Alfa Ricombinante	Trombocitemia essenziale	133/99
Interferone Gamma	Fibrosi polmonare idiopatica	138/00
Lamivudina	Profilassi recidive Epatite HBV correlata dopo trapianto di fegato, in pz. HBV-DNA positivi prima del trapianto, in associazione con IgG specifiche	219/00 Err. Corr. 232/00
Levocarnitina	Acidurie organiche	138/00
Micofenolato Mofetile	LES attivo, refrattario o intollerante trattamento convenzionale	219/00 Err. Corr. 232/00
Micofenolato Mofetile	Malattia "trapianto verso ospite" acuta e cronica, resistente o intollerante tratt. 1° e 2° linea, dopo trapianto allogenico di cellule staminali emopoietiche	219/00 Err. Corr. 232/00
Mifepristone	Sindrome di Cushing di origine paraneoplastica	51/99
Mitotane (Lysodren)	Carcinoma del surrene inoperabile e/o metastatizzato	285/97 92/99
Mitotane (Lysodren)	Sindrome di Cushing grave	207/00
Octreotide	Diarrea secretoria refrattaria	137/99
Octreotide	Ipotensione ortostatica grave in disfunzioni generalizzate del Sistema Nervoso Vegetativo	138/00
Ribavirina	Terapia della recidiva da HCV in pazienti sottoposti a trapianto di fegato per epatopatia cronica C	297/99
Temozolomide	Gliomi maligni ricorrenti	58/98 133/99
Testolattone	Pubertà precoce non gonadotropino dipendente	7/99
Tetraidrobiopterina	Iperfenilalaninemia da carenza congenita di 6-piruvoiltetraidropterina sintetasi	282/98
Trientine Cl.	Morbo di Wilson	258/99
Verteporfina	Neovascolarizzazione subcoroidale nella degenerazione maculare legata all'età	138/00
Zinco Solfato	Morbo di Wilson	58/00