



**Direzione Regionale Salute e Integrazione Sociosanitaria
Area Farmaci e Dispositivi**

Prot.

Roma,

Ai Responsabili dei Centri Emofilia
della Regione Lazio

Policlinico Umberto I

Dr.ssa Cristina Santoro

Policlinico A. Gemelli:

Dr. Raimondo De Cristofaro

Ospedale Bambino Gesù:

Dr. Matteo Luciani

Ospedale Santa Maria Goretti:

Dr. Ugo Coppetelli

Ospedale San Camillo De Lellis

OGGETTO: rettifica alla nota “indicazioni prescrittive nella terapia emofilica”

La regione Lazio ha sempre perseguito la profilassi come trattamento costo/efficace nelle forme di Emofilia A di grado moderato severo. Negli ultimi due anni circa il 65 % degli assistiti è in trattamento in regime di profilassi.

Tale modalità, se da un lato riduce i rischi delle complicanze emorragiche dall'altro comporta un notevole impegno nell'acquisto dei trattamenti farmacologici.

Tra gli ultimi trattamenti da utilizzare in profilassi anche in assenza di inibitori è di recente autorizzazione AIFA il principio attivo emicizumab (Hemlibra) indicato per “profilassi degli episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia A grave (deficit congenito di fattore VIII, FVIII < 1%) senza inibitori del fattore VIII”.

Trattandosi del primo anticorpo monoclonale umanizzato modificato, in previsione di un monitoraggio attento dei pazienti che inizieranno ad utilizzarlo ed in un contesto di sostenibilità globale dell'accesso alle cure, si ritiene opportuno allo stato attuale individuare criteri di priorità della prescrizione di tale farmaco nell'indicazione autorizzata prioritizzando l'utilizzo in:

**Direzione Regionale Salute e Integrazione Sociosanitaria
Area Farmaci e Dispositivi**

assistiti con difficoltà di accesso venoso, condizione particolarmente ricorrente in età pediatrica, certificata in cartella dal centro presso il quale il paziente è seguito, che si ripercuote inevitabilmente sulla compliance del paziente stesso. In tale ambito rientra anche l'uso di Emicizumab nei pazienti precedentemente non trattati (PUPs) o nei pazienti minimamente trattati (MTPs) in età pediatrica e quando la profilassi con FVIII potrebbe essere assicurata solo tramite posizionamento di catetere venoso centrale (CVC). Ciò eviterebbe le complicanze infettive di tale procedura, migliorando la qualità di vita del piccolo paziente e della sua famiglia.

Inoltre, i clinici prenderanno in considerazione quei casi in cui:

- per caratteristiche intrinseche farmaco cinetiche del paziente, per stile di vita, per scarso controllo della sintomatologia emorragica o per pregresse problematiche emorragiche gravi (es. emorragia cerebrale), il consumo di FVIII per la profilassi sia elevato (es. somministrazione giornaliera di concentrato di FVIII) da porre all'attenzione la valutazione costi benefici di uno switch ad Emicizumab;
- un'oggettiva difficoltà di attuazione della profilassi che non possa garantire un adeguato trattamento.

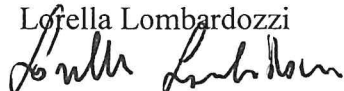
In tali casi, per un attento monitoraggio dell'uso, il prescrittore ne darà comunicazione al gruppo regionale per le MEC.

Prescrizione e modalità di distribuzione

Premesso che la terapia in profilassi è una terapia cronica e che gli assistiti hanno l'esenzione per patologia, si ribadisce quanto previsto dalla L.405/2001 che prevede all'art 9 che possa essere prescritto un fabbisogno mensile o fino ad un massimo di 60 giorni, cercando sempre di limitare eventuali sprechi di farmaco legati alla sospensione della terapia a causa di cambio del concentrato o a causa di eventuali ospedalizzazioni.

Per le terapie a base di emicizumab in profilassi, nelle more di more della predisposizione del PT on line, dovrà essere redatto dal clinico piano terapeutico cartaceo compilando lo schema allegato e l'erogazione sarà a carico delle farmacie dei centri prescrittori, che provvederanno ad inserirlo in file F per la successiva compensazione economica.

Il Dirigente

Lofella Lombardozi


Il Direttore
Renato Botti




SCHEMA REGIONALE PER LA PRESCRIZIONE DI
HEMLIBRA

Profilassi degli episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia A Severa
(deficit congenito di fattore VIII, FVIII < 1%) Senza Inibitori del fattore VIII

Paziente: _____ Codice Fiscale: _____

Regione di appartenenza dell'Assistito _____ ASL _____ Distretto _____

Età _____ Sesso M F

Difficoltà di accesso venoso

oggettiva difficoltà di attuazione della profilassi:

consumo elevato di FVIII per la profilassi

scarso controllo della sintomatologia emorragica

Naive Experience

Profilassi: Primaria Secondaria

Durata prevista del trattamento¹ _____

POSOLOGIA

Peso (Kg) _____

Dose di carico: 3 mg/kg a settimana per le prime 4 settimane

Mantenimento: 1,5 mg/kg/sett.; 3 mg/kg/due sett.; 6 mg/kg/quattro sett.

Dose Totale richiesta: _____

Medico Prescrittore Dr / Prof _____

Tel. _____ Data _____

Firma e timbro del medico prescrittore²

Timbro del Centro Prescrittore

1. Validità massima 12 mesi

2. I dati identificativi del Medico devono essere tali da permettere eventuali tempestive comunicazioni