

■ MALATTIE RARE

Terapia enzimatica sostitutiva finalmente al domicilio

Da tempo i pazienti affetti da malattie rare che si devono sottoporre a terapie enzimatiche sostitutive in ambito ospedaliero si mobilitano attraverso le loro associazioni per ottenere, se le condizioni cliniche lo consentono, l'effettuazione della ERT (enzyme replacement therapy) al proprio domicilio. La pandemia di Covid-19 è riuscita a cancellare le resistenze. In pochi giorni, infatti, sono arrivate notizie favorevoli alla domiciliare: la Regione Toscana ha attivato la domiciliare per i pazienti con malattia di Gaucher e l'Aifa ha pubblicato una raccomandazione molto chiara, che apre alla domiciliare per le terapie enzimatiche sostitutive non solo per la Gaucher ma per molte altre malattie rare. Con una determina Aifa (n. 341/2020) ha autorizzato limitatamente al periodo di emergenza la possibilità di fare le infusioni dei medicinali che servono per alcune malattie genetiche direttamente al domicilio dei pazienti. Anche se non immediatamente coinvolto il medico di medicina generale del paziente deve essere messo a conoscenza della domiciliare della terapia.

"Nel rispetto delle condizioni cautelative previste dalla scheda tecnica e a fronte dell'acquisizione del consenso informato del paziente o del suo tutore legale, i medicinali per terapia enzimatica sostitutiva - ERT - di

cui alle determinazioni richiamate in premessa, ove non siano già state attivate sul territorio modalità di erogazione della terapia in regime domiciliare, sono somministrati presso il domicilio del paziente". È quanto si legge nella determina dell'Aifa che avrà durata per il solo periodo dell'emergenza da Covid-19.

► **Condizioni per la somministrazione domiciliare**

- I pazienti possono essere trattati a domicilio solo dopo aver ricevuto la ERT in ospedale per un periodo di almeno 6-12 mesi senza avere mai manifestato reazioni avverse al farmaco (IAR).
- Se il paziente ha una malattia respiratoria cronica importante (per esempio: %FVC \leq 40%), deve essere valutato su base individuale: solo se si dimostra che la malattia respiratoria è stabile e il paziente è in buone condizioni cliniche generali, la terapia domiciliare può essere autorizzata.
- Il paziente deve avere facili accessi venosi o un port-a-cath impiantato e funzionante.
- Il team dell'infusione domiciliare deve incontrare il paziente e il medico in ospedale prima del trasferimento a domicilio e avere una cartella del paziente con la prescrizione individualizzata del trattamento da mettere in atto se presentasse IAR.
- Il medico di famiglia deve essere

al corrente del fatto che il paziente riceve la ERT al domicilio. Il paziente alla visita successiva al centro deve portare tutta la documentazione che riguarda le infusioni domiciliari.

- Il team domiciliare deve informare subito il medico specialista che ha in cura il paziente se vi sono problemi di accesso venoso o se il paziente ha presentato una IAR.
- Il team infusionale domiciliare è costituito da un medico reperibile telefonicamente esperto della malattia e da uno o due infermieri addestrati che abbiano fatto un corso ad hoc e che conoscano la patologia, il farmaco, le possibili reazioni, e i trattamenti correlati.
- Il medico responsabile dell'infusione domiciliare deve essere sempre reperibile telefonicamente dal team infusionale.

► **Proroga dei piani terapeutici Aifa**

In considerazione della necessità di ridurre il rischio di infezione da SARS-CoV-2 nei pazienti anziani e/o con malattie croniche, limitando l'affluenza negli ambulatori specialistici al fine di ottenere il rinnovo di piani terapeutici di medicinali soggetti a monitoraggio AIFA web-based o cartaceo, Aifa comunica che la validità dei piani terapeutici (PT) web-based o cartacei già sottoscritti dai medici specialisti e che risultano in scadenza nei prossimi mesi sarà estesa di 90 giorni a partire dal momento della scadenza. Al termine del periodo di proroga, in assenza di nuove comunicazioni, il rinnovo dei PT dovrà avvenire secondo le consuete modalità.

• Fonte: www.aifa.gov.it