

Governance e sicurezza della cura del medicinale ad uso compassionevole Risdiplam

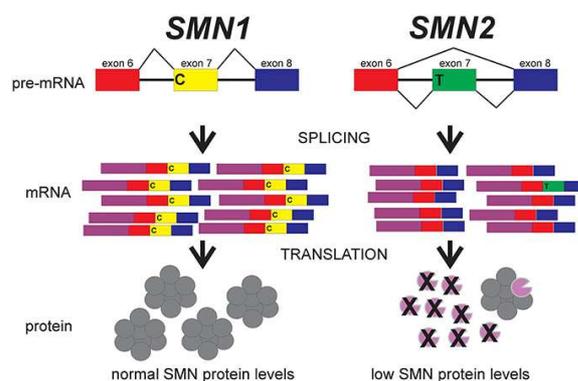
Monopoli C. (1), Zito M. (1), Esposito S. (1), Casuscelli D. (2), Spinoso S. (2), Naturale M.D. (2), Marrazzo G.M. (2), Brescia A. (2) Torrisi C. (2) Alcaro M.G. (2) De Francesco A. (1) - 1) UOC Farmacia AOU Mater Domini Catanzaro 2) Scuola di Specializzazione in Farmacia Ospedaliera di Catanzaro

Obiettivo

Obiettivo dello studio è quello di garantire attraverso l'elaborazione di una procedura ad hoc adeguato governo clinico e sicurezza della cura, in accordo con la Raccomandazione Ministeriale n. 7.

Introduzione

L'atrofia muscolare spinale (SMA) è una grave malattia neuromuscolare autosomica recessiva caratterizzata da progressiva degenerazione dei motoneuroni per la carenza della proteina Survival Motor Neuron (SMN). Per i pazienti con SMA di tipo 1, 2, 3 privi di opzioni terapeutiche è disponibile in Italia dal 2020, grazie al programma per uso compassionevole, il medicinale Risdiplam che agisce aumentando i livelli di proteina SMN funzionale. Ad oggi rappresenta la prima e unica terapia domiciliare per il trattamento della SMA, somministrata giornalmente per via orale o attraverso sonda gastrica.



Metodi

E' stata elaborata una procedura gestionale dell'intero processo: stoccaggio, conservazione, prescrizione, preparazione, somministrazione e conservazione. Effettuato il controllo della prescrizione si è proceduto alla preparazione nel rispetto delle Norme di Buona Preparazione dei medicinali. E' stata quindi calcolata la dose, sulla base del peso e dell'età del paziente e la validità della preparazione. Sono state predisposte le etichette e compilata la scheda riassuntiva del farmacista preparatore. Infine, è stata descritta ed illustrata la procedura di somministrazione e conservazione allo scopo di istruire il paziente alla corretta gestione del medicinale.

Risultati

L'elaborazione di una procedura dettagliata ha consentito alla Farmacia di coordinare l'iter gestionale del medicinale Risdiplam fin dalla fase di approvvigionamento. Quest'ultima trattandosi di un farmaco ad uso compassionevole, prevede un percorso dedicato che consente di tracciare tutte le fasi a partire dalla richiesta di autorizzazione per uso compassionevole inoltrata dal clinico al Comitato Etico. L'implementazione della procedura elaborata ha consentito di preparare e consegnare il medicinale al paziente in un unico accesso ambulatoriale. La partecipazione al team del farmacista ospedaliero ha consentito la gestione del rischio clinico, la sicurezza del paziente e l'ottimizzazione delle cure.

Discussione e conclusioni

La SMA è una malattia rara spesso fatale poiché coinvolge anche i muscoli polmonari. L'accesso alla cura con Risdiplam è garantito da programmi ad uso compassionevole (D.M. 7 settembre 2017) avviati dall'azienda produttrice che consentono il trattamento di soggetti privi di alternative terapeutiche. La formulazione orale, permettendo l'utilizzo domiciliare, garantisce elevata compliance dei pazienti riducendo il numero di accessi ospedalieri. La procedura elaborata dalla Farmacia ha permesso una stretta collaborazione tra farmacista, personale medico ed infermieristico garantendo attraverso un approccio multidisciplinare un adeguato governo clinico e sicurezza delle cure.



Bibliografia

1) <https://www.osservatoriomalattie.it> 13/10/2021, 2) Dhillon S. Risdiplam: First Approval. Drugs. 2020 Nov;80(17):1853-1858.