



## La somministrazione a domicilio dei farmaci



**Fernanda Torquati<sup>1</sup>, Stefania Tobaldini<sup>2</sup>**

<sup>1</sup>Presidente Associazione Italiana Gaucher ONLUS, <sup>2</sup>Presidente AIAF – Associazione Italiana Anderson-Fabry ONLUS

Il 24 ottobre 2018 si è tenuto a Roma il convegno "Home therapy per una migliore qualità di vita", organizzato dalle associazioni nazionali di riferimento per i pazienti con malattia lisosomiale: AIAF Onlus (Associazione Italiana Anderson-Fabry), AIG-Gaucher Onlus (Associazione Italiana Gaucher), AIG-Glicogenosi Onlus (Associazione Italiana Glicogenosi) e AIMPS Onlus (Associazione Italiana Mucopolisaccaridosi). Insieme alla Presidente dell'Intergruppo Parlamentare per le Malattie Rare, Senatrice Paola Binetti, associazioni, istituzioni, clinici e portatori di interesse si sono confrontati sull'importanza di garantire su tutto il territorio nazionale la terapia domiciliare per i pazienti in cura con terapia enzimatica sostitutiva (Ert) per annullare le disparità esistenti tra le varie Regioni italiane.

La Anderson-Fabry, la Gaucher, la Glicogenosi e le Mucopolisaccaridosi sono malattie diverse, accomunate dalla carenza o mancanza di un enzima che provoca accumulo lisosomiale, per il quale spesso l'unico trattamento è la terapia enzimatica sostitutiva, un'infusione cui il paziente deve sottoporsi per tutta la vita, ogni 7 o 14 giorni a seconda della patologia e con una durata variabile dalle 2 alle 6 ore. Spesso le terapie ospedaliere vengono somministrate in orari coincidenti con quelli lavorativi o scolastici costringendo i pazienti ad un numero di assenze variabile da 26 a 52 giornate all'anno, che raddoppiano nel caso di paziente pediatrico con un genitore a sua volta malato.

Così, anche a causa del mancato riconoscimento di invalidità ai sensi della L.104/1992, spesso i pazienti sono costretti a chiedere permessi e ferie per effettuare le terapie e a sostenere costi e disagi per raggiungere l'ospedale (1).

L'opportunità della terapia domiciliare per questi farmaci era stata affrontata nel "Documento sulla somministrazione a domicilio di farmaci ad alto costo per persone con malattia rara (7/11/2012)", approvato dalla Commissione Salute e dalla Conferenza Regioni e PPAA, nel quale si legge "L'accesso a tale somministrazione è un diritto del paziente, qualora le sue condizioni cliniche lo consentano. L'offerta dell'assistenza domiciliare, anche per quanto riguarda queste somministrazioni, attraverso l'SSR è compito che tutte le Regioni e le Province Autonome devono assolvere. Tale offerta (...) deve essere garantita dal servizio pubblico a ciò deputato, anche se può in taluni casi essere integrata da un'offerta privata, secondo le procedure di acquisizione di servizi che ogni Regione o Provincia Autonoma ha definito." (2)

**Le associazioni di pazienti con malattie lisosomiali chiedono uniformità sul territorio nazionale per garantire la terapia domiciliare per i pazienti in cura con Ert**

Attualmente, in Italia, ogni Regione si comporta in modo differente. Nel caso della malattia di Anderson-Fabry, malattia di Gaucher e Mucopolisaccaridosi l'Ert in regime domiciliare non è ancora consentita in Piemonte, Trentino, Emilia Romagna, Umbria, Toscana e Marche. Per la Glicogenosi, invece, la terapia domiciliare non è consentita in nessuna regione, nonostante in altri Paesi europei sia già attiva.

In base ad un modello sperimentato con uno studio pilota avviato in Calabria nel 2008 e successivamente implementato ed adottato oggi da molte Regioni Italiane, si è potuto dimostrare che la home therapy offre la possibilità di concordare gli appuntamenti adattandoli alla quotidianità e quindi in orario extra scolastico o extra lavorativo, con netta riduzione delle assenze dal lavoro o da scuola. Permette, inoltre, l'abbattimento dei costi per recarsi all'ospedale ma anche una minore esposizione a rischio di incidenti stradali; aumenta la regolarità nella frequenza della terapia, non più vincolata alla disponibilità di posti letto e diminuisce la percezione della malattia, migliorando così l'aderenza terapeutica e la qualità di vita anche a livello psicologico.

Questo modello di terapia domiciliare permette inoltre di annullare i costi per i day hospital e per gli accessi ambulatoriali, liberando spazi e personale, che possono essere destinati ad altre situazioni di emergenza e necessità ospedaliera. Inoltre, laddove la Regione non riesca a fornire direttamente l'assistenza domiciliare, questa può essere erogata anche grazie al sostegno economico delle aziende



**La terapia domiciliare offre la possibilità di concordare gli appuntamenti in base alle esigenze individuali, senza doversi recare in ospedale e migliorando l'aderenza terapeutica**

farmaceutiche ed affidata ad aziende private in convenzione con le strutture pubbliche. La partnership pubblico-privato permette anche di accedere alla terapia domiciliare ai pazienti che non rientrano nei criteri di attivazione dell'Assistenza Domiciliare Integrata (ADI) a causa del mancato riconoscimento di invalidità ai sensi della legge 104/1992. La sottoscrizione di un Patto di Intesa tra Associazioni e Intergruppo Parlamentare per le Malattie Rare, a fine convegno, ha sancito l'impegno di collaborazione tra Istituzioni e Associazioni Pazienti per estendere la terapia domiciliare in tutto il territorio nazionale.

*Maggiori informazioni sulle Associazioni di Pazienti con malattie lisosomiali sono disponibili ai siti:*

- [www.gaucheritalia.org](http://www.gaucheritalia.org)
- [www.aiaf-onlus.org](http://www.aiaf-onlus.org)
- [www.aig-aig.it](http://www.aig-aig.it)
- [www.aimps.org](http://www.aimps.org)

#### **Bibliografia**

1. Legge 104/1992: Legge-quadro per l'assistenza, l'integrazione sociale e i diritti delle persone handicappate. (GU Serie Generale n.39 del 17-02-1992 - Suppl. Ordinario n. 30).
2. Documento sulla somministrazione a domicilio di farmaci ad alto costo per persone con malattia rara (7/11/2012).