

## RISDIPLAM IL NUOVO FARMACO PER LA SMA:

### IL RUOLO STRATEGICO DEL LABORATORIO DI GALENICA CLINICA AZIENDALE

Mariagrazia Dileo<sup>1</sup>, Catiana Mirgaldi<sup>1</sup>, Filomena Cavallera<sup>2</sup>, Daniela Ciccarone<sup>2</sup>, Angela Sanrocco<sup>2</sup>, Anna Dicuia<sup>2</sup>, Stefania Antonacci<sup>3</sup>

<sup>1</sup>Specializzando SSFO Università degli studi di Bari «Aldo Moro»,

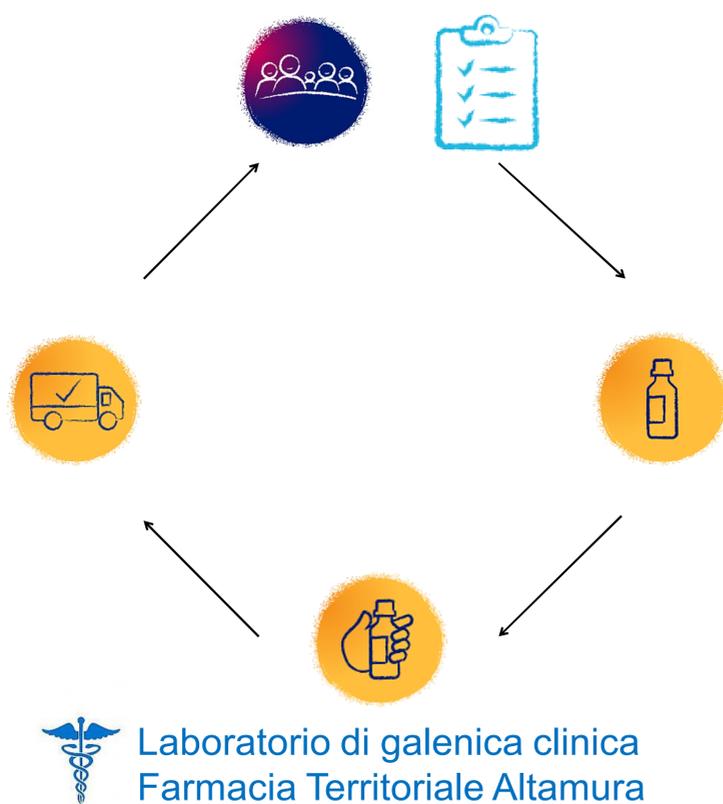
<sup>2</sup>Dirigente Farmacista Farmacia Territoriale Altamura ASL Bari,

<sup>3</sup>Direttore Area Farmaceutica Territoriale ASL Bari

**BACKGROUND E OBIETTIVI:** L'atrofia muscolare spinale (SMA) è una malattia rara neuromuscolare caratterizzata dalla progressiva morte dei motoneuroni, causato da un difetto nel gene survival motor neuron (SMN), necessario per la sopravvivenza dei motoneuroni.

A febbraio 2022 l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha disposto la riclassificazione in fascia H per il farmaco risdiplam, indicato per il trattamento della SMA 5q a partire dai due mesi di vita, con diagnosi clinica di SMA di tipo 1, 2 o 3 o aventi da una a quattro copie SMN2, rappresentando la terza terapia insieme alle altre due terapie geniche, ma l'unica terapia domiciliare. Si tratta di un farmaco in forma farmaceutica di sciroppo che deve essere dispensato al paziente solo dopo ricostituzione da parte di un operatorio sanitario.

Obiettivo del lavoro è descrivere il percorso di accesso al farmaco nella nostra Azienda Sanitaria Locale (ASL): prescrizione, ricostituzione nel laboratorio di galenica aziendale, dispensazione a domicilio, e valutare il grado di soddisfazione del servizio offerto da parte dei pazienti/caregivers.



**MATERIALI E METODI:** La regione con nota del 09/02/2022 ha individuato i centri autorizzati alla prescrizione del farmaco abilitando gli stessi alla redazione del registro web based AIFA.

L'area farmaceutica territoriale della nostra ASL ha implementato una procedura interna, che prevede, come da scheda tecnica, la ricostituzione in sicurezza del farmaco nel laboratorio di galenica clinica aziendale, in maniera centralizzata per tutta la ASL. A garanzia della manipolazione in sicurezza la ricostituzione avviene sotto cappa e indossando i dispositivi di protezione individuale come previsto dalle norme di buona preparazione; successivamente alla ricostituzione si procede con la consegna a domicilio del paziente prestando particolare attenzione alla conservazione e trasporto del medicinale. È stato, inoltre, somministrato ai pazienti/caregivers un questionario di gradimento del servizio offerto.

**RISULTATI:** Da febbraio 2022 ad maggio 2022 sono stati allestiti presso il laboratorio galenico aziendale 40 flaconi di risdiplam, destinati al trattamento di 7 pazienti afferenti a diversi distretti della nostra ASL. I risultati del questionario dimostrano che il servizio è stato gradito per il 100% dei pazienti coinvolti.

**CONCLUSIONI:** La presenza di un laboratorio di galenica clinica aziendale afferente all'area farmaceutica territoriale della nostra ASL, ha rappresentato le basi per definire un percorso unico di accesso. L'elaborazione di una procedura intraziendale che identifica nel laboratorio di galenica clinica territoriale il centro hub di allestimento per conto dell'ASL, è garanzia per tutti i pazienti afferenti ai diversi distretti di qualità, sicurezza e uniformità di accesso alle cure.