

L'ALLESTIMENTO DI RISDIPLAM IN UN IRCCS NEUROLOGICO LOMBARDO

Pasquariello A.¹, Colucci V.¹, Aloisi A.C.²

¹Responsabile SS Farmacia, Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta

¹Borsista Farmacia, Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta

²Specializzanda in Farmacia Ospedaliera, Università degli Studi di Milano

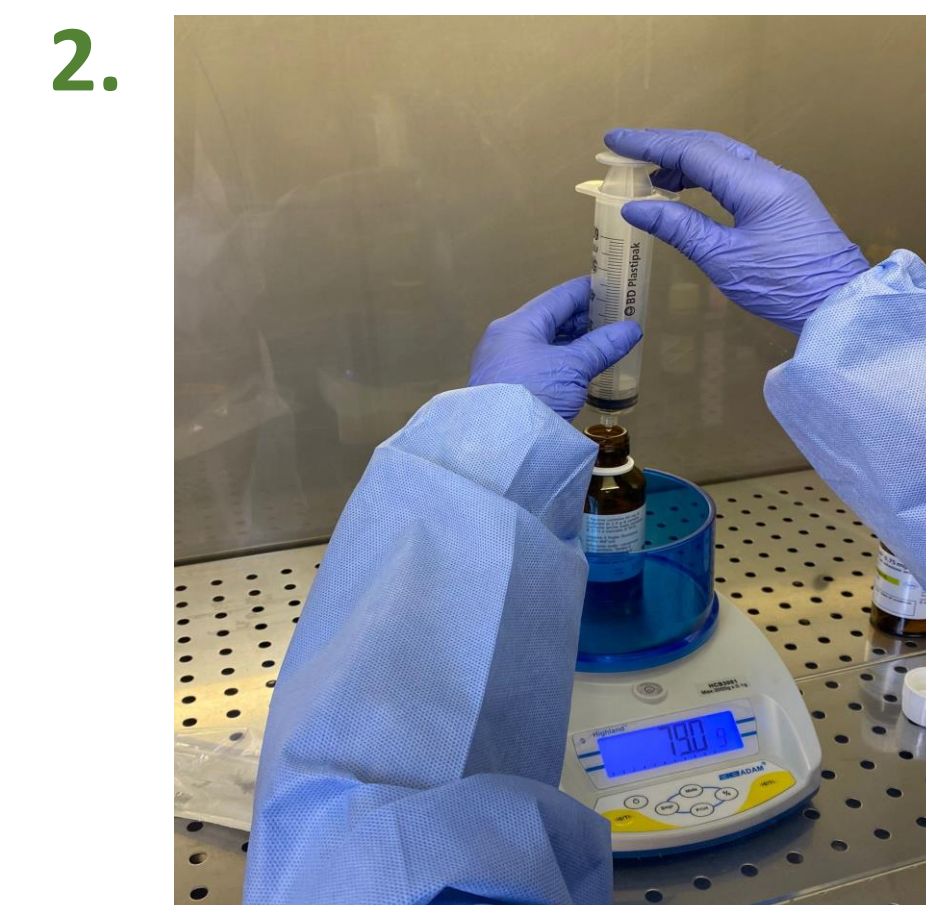
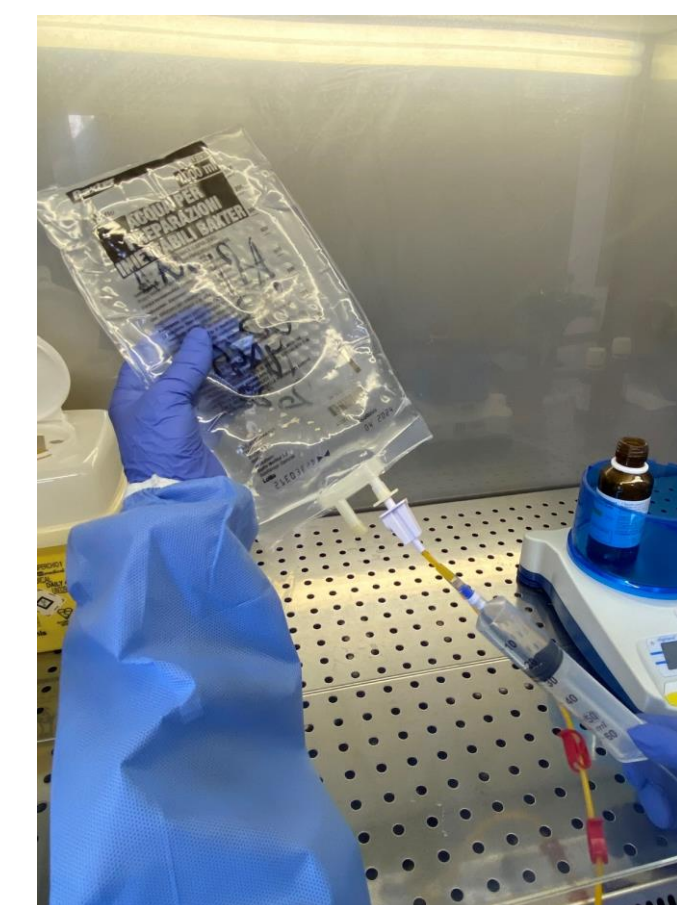
INTRODUZIONE: L'atrofia muscolare spinale (SMA) è una malattia rara (RFG050) dovuta a delezioni/mutazioni nel gene del motoneurone 1 (SMN1-2) localizzato sul braccio lungo del cromosoma 5, nella regione 5q13. Sono approvate tre terapie: Onasemnogene abeparvovec, terapia genica che fornisce all'organismo una versione sana del gene SMN, l'Oligonucleotide antisense Nusinersen e il farmaco orale Risdiplam che agisce sul gene SMN2 producendo una SMN funzionale. Presso l'IRCCS i pazienti hanno ricevuto Risdiplam nell'ambito di due sperimentazioni cliniche (Sunfish dal 2016 e Firefish dal 2017), mediante un programma di uso compassionevole (CUP) e tramite un programma di accesso anticipato con fornitura gratuita da parte dell'azienda durante la classificazione in Cnn. Dal 08.02.2022 Risdiplam è in regime di rimborsabilità SSN e la formulazione galenica magistrale è allestita dal farmacista ospedaliero e dispensata al paziente che la assume quotidianamente al domicilio.

OBIETTIVO: SOTTOLINEARE L'IMPORTANZA DELLA GALENICA OSPEDALIERA NELLA GESTIONE DI UNA MALATTIA RARA MEDIANTE UN FARMACO DI FASCIA H DA DISPENSARE, PREVIA RICOSTITUZIONE, NEL RISPETTO DELLE NBP SEMPLIFICATE

METODI: Previa valutazione dell'appropriatezza prescrittiva, il farmacista disperde 0,75 **1.** mg di polvere in 79 mL di acqua ppi, inserisce l'adattatore a pressione, posiziona il tappo, agita fino a che la soluzione appare chiara, conserva il preparato a 2°-8°C garantendo una stabilità per 64 giorni.

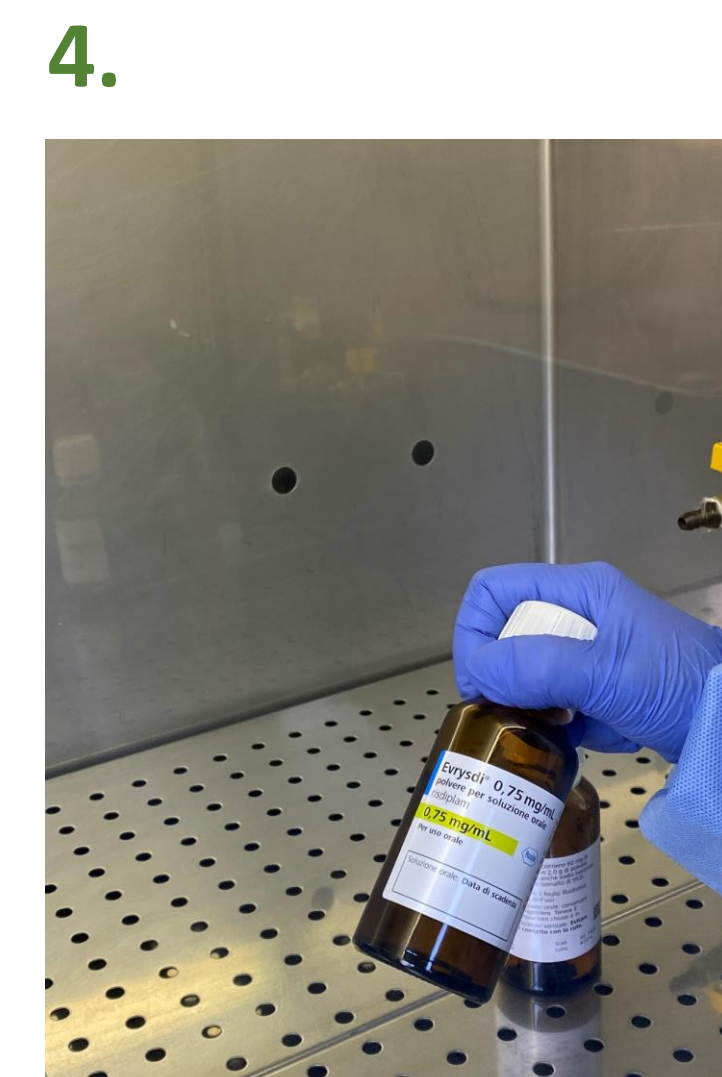
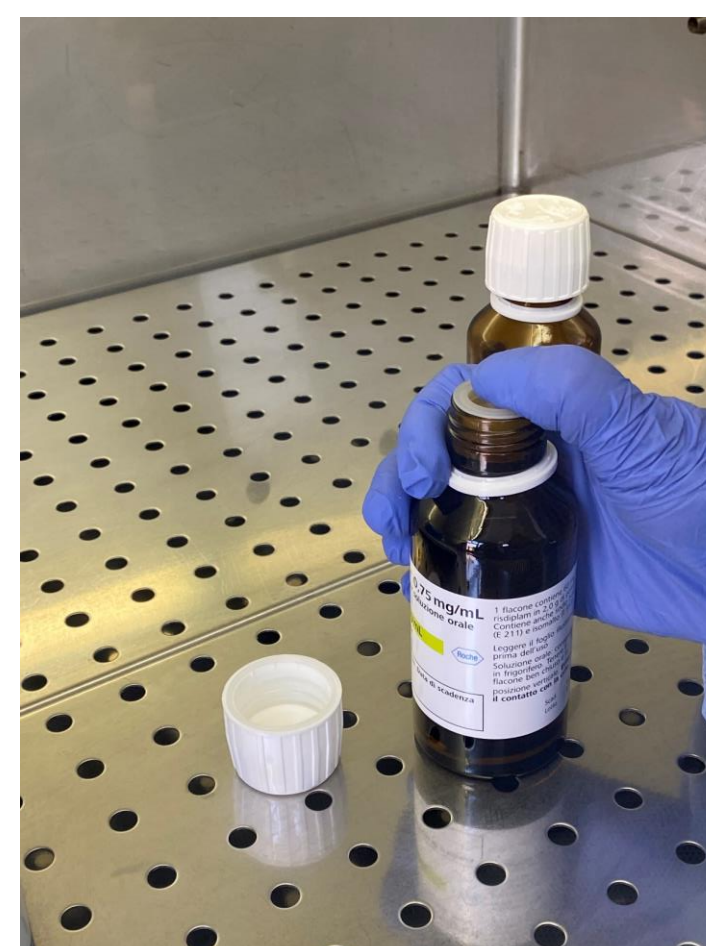
Per ciascun allestimento/ paziente sono ricostituiti n. 5 o 6 flaconi (in funzione di età/peso paziente).

La calendarizzazione degli allestimenti consente la disponibilità del farmaco necessario e la riduzione del numero di sedute di allestimento pur garantendo continuità terapeutica ai pazienti ed evitando sprechi.



RISULTATI: Nel trimestre dicembre 2021-febbraio 2022 gli allestimenti sono stati 22 per n.19 pazienti (9 adulti e 10 bambini) fornendo una copertura terapeutica/paziente ogni 64 giorni. Dei 9 pazienti adulti, di cui n. 4 (44,4%) in CUP e n. 5 (55,5%) in programma di accesso anticipato, per n. 2 è stato effettuato uno *shift* terapeutico per insorgenza di evento avverso o per inefficacia del precedente trattamento mentre n. 7 erano *naive*.

Dei 10 pazienti pediatrici, di cui n. 4 (40%) in CUP e n. 6 (60%) in programma di accesso anticipato, n. 4 hanno effettuato uno *shift* terapeutico mentre 6 (20%) erano *naive*. Sono previsti nel breve termine ulteriori 25 pazienti che dalla fase di estensione degli studi clinici passeranno all'allestimento del galenico.



Fondazione I.R.C.C.S. Istituto Neurologico Carlo Besta Servizio di Farmacia Ospedaliera - Laboratorio di Galenica	
EVRYSDI 0,75 mg/ml	
COMPOSIZIONE: RISDIPLAM - 0,75 mg/ml polvere per os 60 mg	
ACQUA PER PREPARAZIONI INIETTABILI - 79 ml	
MEDICO PRESCRITTORE: XXX	
PAZIENTE: X.X	DATA DI NASCITA: xxx
PREPARAZIONE N.: 148	DATA: 05/05/22 SCAD.: 09/07/22
LOTTO: 148/22 CONSERVAZIONE: 2 - 8°C	
IRRITANTE PER CUTE E OCCHI - TENERE AL RIPARO DALLA LUCE	

