

**Trattamento domiciliare dell'assistito affetto da carenza congenita di alfa1 antitripsina con terapia sostitutiva - Allegato al consenso informato per MMG**

**TABELLA DESCRITTIVA RESPONSABILITÀ**

| <b>Attori</b>                                       | <b>Attività</b>  |
|---|--|
| <b>Medico Specialista del Centro di Riferimento</b> | Regia del caso e valutazione dei criteri clinici ed assistenziali di eleggibilità dell'assistito al trattamento domiciliare  |
|   | Somministrazione di almeno tre dosi di farmaco c/o il Centro di Riferimento  |
|   | Confronto sul caso con MMG e UCAM – Definizione dell'eleggibilità dell'assistito, del percorso clinico e relativo follow up  |
|   | Acquisizione del parere favorevole del MMG alla domiciliazione del trattamento e disponibilità del medesimo alla presa in carico   |
|   | Prescrizione del farmaco (compilazione del PT – durata max fino ad 1 anno), richiesta fornitura alla Farmacia Aziendale, educazione dell'assistito/famigliare sulle corrette modalità di conservazione (in caso di auto-somministrazione)  |
|   | Rivalutazione del caso quando richiesto dal MMG<br>Rivalutazione del caso alla scadenza del PT   |
|   | Acquisizione del consenso informato (ModSDA2905) da parte dell'assistito/legale rappresentante all'auto-somministrazione o alla somministrazione domiciliare del farmaco e invio copia al MMG con relativo allegato  |
| <b>Infermiere Centro di Rif.</b>                    | Addestramento dell'assistito/familiare alla gestione dell'auto-somministrazione del farmaco e documentazione dell'avvenuta acquisizione delle competenze   |
| <b>MMG</b>  | Per auto-somministrazione: confronto con medico specialista in merito alla possibilità di attivare l'auto-somministrazione del farmaco da parte dell'assistito/del familiare, anche in funzione dell'adeguatezza del contesto abitativo (eventuale attivazione valutazione UCAM).<br>Monitoraggio dell'utente e follow up in accordo con il Medico specialista. Richiesta eventuale consulenza/supervisione infermiere ADI   |
|   | Per attivazione ADI: <ul style="list-style-type: none"> <li>• richiesta di valutazione del bisogno all'UCAM</li> <li>• compilazione Allegato A Protocollo per la somministrazione terapia e.v. a domicilio</li> <li>• reperibilità durante la somministrazione</li> <li>• monitoraggio dell'utente e follow up in accordo con il Medico specialista</li> </ul>   |
| <b>UCAM</b>   | Valutazione MD, attivazione ADI e monitoraggio del caso<br>Facilitazione della comunicazione tra tutti gli attori  |
| <b>FARMACIA</b>                                     | Fornitura del farmaco e materiale d'uso alla sede territoriale di residenza dell'assistito   |
| <b>ASSISTITO/ FAMILIARE</b>                         | In caso di auto-somministrazione, <ul style="list-style-type: none"> <li>• ritiro del farmaco e del materiale d'uso presso il servizio territoriale e conservazione secondo le modalità indicate dal medico</li> <li>• acquisizione competenze per la corretta gestione dell'auto-somministrazione</li> <li>• somministrazione/sostegno all'auto-somministrazione con la supervisione dell'infermiere ADI per le prime infusioni</li> <li>• rispetto dei controlli previsti nel follow-up</li> </ul> Presenza familiare durante la somministrazione in regime di ADI   |
| <b>INFERMIERE ADI</b>                               | Concorda con assistito e MMG gli accessi domiciliari in funzione del programma terapeutico<br>Verifica le condizioni dell'assistito e del contesto (familiare e ambientale)<br>Verifica le modalità di conservazione del farmaco (in caso di auto somministrazione)<br>Segnala al MMG eventuali problemi riscontrati<br>Verifica e promuove il rispetto delle corrette abitudini di vita dell'assistito<br>In caso di accesso occasionale per auto-somministrazione: <ul style="list-style-type: none"> <li>• verifica le modalità di posizionamento dell'accesso venoso e supporta con interventi educativi e di supervisione la corretta esecuzione della preparazione del farmaco, dell'auto-somministrazione e della registrazione sul diario</li> <li>• verifica le conoscenze dei familiari in merito alla gestione di eventuali effetti collaterali</li> </ul> In ADI: <ul style="list-style-type: none"> <li>• predispone il programma di somministrazione (accordi con utente/famiglia e MMG)</li> <li>• somministra il farmaco secondo procedura e rendiconta la prestazione, anche applicando sul diario domiciliare gli adesivi identificativi del lotto dei flaconi infusi</li> </ul> |

## INDICAZIONI E RECLUTAMENTO

La terapia sostitutiva è indicata nei pazienti affetti da deficit omozigote di AAT (gli alleli sono entrambi deficitari e identici: ad esempio ZZ, SS, NullNull), oppure da deficit eterozigote composto (gli alleli sono entrambi deficitari ma diversi: ad esempio, SZ, ZNull, SNull) che contemporaneamente presentano BPCO (diagnosticata mediante una spirometria) causata da enfisema, bronchiolite cronica o entrambi.

La terapia deve essere intrapresa quando la funzione respiratoria valutata mediante il volume espiratorio massimale al primo secondo (FEV<sub>1</sub>) non è eccessivamente compromessa: la percentuale di questo parametro non deve essere inferiore, infatti, al 35% del valore teorico al momento dell'avvio della terapia, ma è meglio cominciare sin da quando esso è appena inferiore al 65%.

Per valutare l'indicazione alla somministrazione domiciliare i parametri clinici del paziente da rilevare sono rappresentati da:

- grado di dispnea cronica valutata secondo la scala MRC
- presenza d'insufficienza respiratoria cronica in ossigeno terapia
- numero di riacutizzazioni annue superiore a 3
- valutazione delle patologie associate (comorbidità)
- valutazione dell'autosufficienza (secondo Barthel)

### Durata del trattamento e posologia

Il trattamento è cronico ("long life").

Dosaggio raccomandato: 60 mg/Kg di peso corporeo per via endovenosa (EV) una volta la settimana.

### Controindicazioni

Vi sono dimostrazioni che il fumo di sigaretta inattiva l'AAT circolante, oltre che, ovviamente, favorire di per sé lo sviluppo e il degrado parenchimale nei pazienti enfisematosi. Si raccomanda pertanto vivamente la cessazione del fumo. La terapia sostitutiva non è indicata nei soggetti affetti da deficit di IgA: ciò è dovuto al fatto che il processo di purificazione plasmatica prevede delle metodiche che in parte possono inglobare porzioni di IgA tra le molecole di AAT destinate al farmaco. Nel caso la terapia sia somministrata ad un paziente con deficit di IgA, egli potrebbe, dopo la seconda o terza somministrazione, produrre una reazione allergica di entità clinica rilevante.

La terapia non è indicata in pazienti minorenni, perché, secondo gli RCP, non ci sono sufficienti dati a supporto della somministrazione in età pediatrica; non è inoltre raccomandata nei soggetti con epatopatia correlata all'AATD.

## RICONOSCIMENTO E GESTIONE DEGLI EFFETTI INDESIDERATI DURANTE L'INFUSIONE

La tollerabilità e la sicurezza della terapia sostitutiva sono buone. Gli effetti collaterali descritti sono rappresentati da sintomi generici e superficiali, a incidenza contenuta che il paziente può avvertire prevalentemente durante l'infusione: vertigini, cefalea, nausea, eruzione cutanea tipo "rush", artralgia, e dispnea. La loro durata è breve, spesso autolimitantesi e con scarsa necessità d'interventi correttivi specifici.

Ogni eventuale effetto collaterale va segnalato al medico specialista di riferimento e documentato nel diario domiciliare. L'effettuazione delle prime tre somministrazioni del farmaco in ospedale, è finalizzata ad intercettare eventuali problemi di tollerabilità del farmaco, anche in funzione dell'eleggibilità alla somministrazione domiciliare.

Secondo quanto riportato nel foglio informativo del farmaco, i problemi che si possono verificare sono rappresentati da:

- Reazioni allergiche:

brividi, rossore, battito cardiaco accelerato, riduzione della pressione sanguigna, stordimento, eruzione cutanea, prurito orticaria, difficoltà a respirare o deglutire oltre a gonfiore delle mani, del viso o della bocca. Possono comparire anche durante infusioni successive alla prima.

In questi casi interrompere immediatamente la somministrazione e chiamare il NUE 112.

- Effetti collaterali:

capogiro, mal di testa, fiato corto (dispnea) e nausea, alterazione del tatto come formicolio, rossore, orticaria, eruzione cutanea, debolezza fisica (astenia), reazioni a livello del sito di infusione come bruciore, sensazione di puntura, dolore, gonfiore o arrossamento.

In questi casi interrompere immediatamente la somministrazione e, se la sintomatologia non si risolve entro breve tempo, contattare il medico specialista per una consulenza, se reperibile, o chiamare il NUE 112.

### Per approfondimenti:

Prolastin® - Riassunto delle caratteristiche del prodotto

[https://farmaci.agenziafarmaco.gov.it/aifa/servlet/PdfDownloadServlet?pdfFileName=footer\\_001305\\_037709\\_RCP.pdf&retry=0&sys=m0b113](https://farmaci.agenziafarmaco.gov.it/aifa/servlet/PdfDownloadServlet?pdfFileName=footer_001305_037709_RCP.pdf&retry=0&sys=m0b113)

Respreza® - Riassunto delle caratteristiche del prodotto

[https://farmaci.agenziafarmaco.gov.it/aifa/servlet/PdfDownloadServlet?pdfFileName=footer\\_000802\\_044479\\_RCP.pdf&retry=0&sys=m0b113](https://farmaci.agenziafarmaco.gov.it/aifa/servlet/PdfDownloadServlet?pdfFileName=footer_000802_044479_RCP.pdf&retry=0&sys=m0b113)

Medico Specialista di riferimento Dr. \_\_\_\_\_

Tel \_\_\_\_\_ /e-mail \_\_\_\_\_