

Illustre On.
Roberto Speranza
Ministro della Salute

Illustre Prof.
Giorgio Palù
Presidente
Consiglio Amministrazione AIFA

Illustre Prof.
Nicola Magrini
Direttore Generale AIFA

Illustre Dott.
Antonio Gaudio
Capo Segreteria Tecnica
Ministero della Salute

LORO SEDI

Oggetto: Raccomandazione a carattere eccezionale per la somministrazione domiciliare dei farmaci per terapia enzimatica sostitutiva (Det. AIFA 341/2020)

La SIMMESN - Società Italiana per lo studio delle Malattie Metaboliche Ereditarie e lo Screening Neonatale - promuove la ricerca, lo sviluppo organizzativo, la qualità dell'assistenza, la collaborazione scientifica nell'ambito delle malattie metaboliche ereditarie e dello screening neonatale.

La società scientifica ha accolto favorevolmente la determina AIFA - in data 30 marzo 2020 - di autorizzare in via straordinaria, per alcune malattie rare, la somministrazione domiciliare dei farmaci per terapia enzimatica sostitutiva (ERT).

La pandemia da Covid-19 ha spinto a ripensare nel suo complesso la gestione del paziente andando nella direzione della telemedicina e della medicina di prossimità, facendo così spostare i professionisti, le informazioni e/o le terapie, ma non il paziente. Durante i difficili mesi della pandemia da COVID-19, molti dei pazienti affetti da malattie metaboliche ereditarie in terapia sostitutiva hanno potuto mantenere la continuità terapeutica al proprio domicilio migliorando la propria qualità di vita ed al contempo gravando meno sulle strutture ospedaliere alle prese con la gestione emergenziale.

Il 31 marzo 2022, con la fine dello stato di emergenza, diverse regole di comportamento e limitazioni rimarranno in essere per gestire con l'opportuna gradualità i diversi ambiti sociali, ma cosa ne sarà della terapia domiciliare per i nostri pazienti?

La SIMMESN sente dunque il dovere di raccomandare il mantenimento in essere della Determina AIFA 341/2020 con la possibilità di erogare i farmaci ERT a domicilio non solo perché ad oggi non risultano segnalazioni di reazioni avverse gravi legate alla somministrazione domiciliare dei farmaci per ERT durante il periodo emergenziale, ma anche nella malaugurata ipotesi si debba nuovamente, in un prossimo futuro, affrontare una nuova ondata pandemica mettendo in atto nuovamente le relative misure di contenimento.

L'adozione di tale decisione sarebbe di grande importanza per i pazienti e i *caregiver* che hanno visto migliorare la loro qualità di vita con un impatto positivo sulla loro dimensione sociale, scolastica o lavorativa, coerentemente con i risultati positivi riscontrati durante lo stato di emergenza in termini di continuità terapeutica, aderenza alla terapia e sicurezza.

La società scientifica SIMMESN si augura che questa lettera, con le sopra citate raccomandazioni, possa essere presa in debita considerazione dagli organi preposti.

Con osservanza

Prof. Andrea Pession
Presidente SIMMESN