

LA REGOLAMENTAZIONE DEL GH IN ITALIA E IL REGISTRO NAZIONALE

Coordinatori
Vincenzo Toscano & Renato Cozzi
Editor
Vincenzo Di Donna & Cecilia Motta

Tra i sistemi di sorveglianza e i registri di patologia disposti dalla Presidenza del Consiglio dei Ministri con il DPCM del 3 marzo 2017, vi è il **Registro Nazionale degli Assuntori dell’Ormone della Crescita (RNAOC)**, previsto dalla nota 39 (1) dell’Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), allo scopo di **monitorare l’appropriatezza** prescrittiva del trattamento con somatotropina (*growth hormone*, GH, o *recombinant human GH*, rhGH) in Italia e allo stesso tempo la **sostenibilità** per il Servizio Sanitario Nazionale (SSN).

Dal 2011 è attivo il registro informatizzato, basato su una piattaforma *web* (RNAOC *web*), studiata al fine di consentire l’invio *online* delle segnalazioni di terapia con rhGH e, in particolare, dei dati clinici dei pazienti in trattamento, al fine di soddisfare i criteri diagnostici richiesti dalla nota AIFA 39 per le attività di farmaco-sorveglianza.

Attualmente il RNAOC raccoglie le segnalazioni di terapia da 17 Regioni e 2 Province Autonome mediante la piattaforma RNAOC *web* e i *database* delle Regioni che hanno sistemi di gestione locali (Lazio e Campania che, pur non aderendo alla piattaforma *web*, segnalano i pazienti, residenti in altre Regioni, in terapia presso i loro centri). La partecipazione della maggior parte delle Regioni italiane al RNAOC *web* permette di avere a disposizione, e di poter trasmettere alle autorità competenti, un insieme di dati e di informazioni sufficientemente completo relativamente alla realtà del trattamento con rhGH in Italia.

La scheda *online* di segnalazione della terapia con rhGH disponibile sulla piattaforma RNAOC *web* viene aggiornata di pari passo alla normativa vigente – nota AIFA 39 – e ai farmaci autorizzati.

Struttura del RNAOC

Le Commissioni Regionali per il GH sono state istituite secondo le prescrizioni della nota AIFA 39, al fine di mettere in atto le procedure di controllo delle prescrizioni a base di rhGH in termini di appropriatezza prescrittiva e contenimento della spesa farmaceutica.

Le Regioni possono decidere autonomamente se aderire o meno al RNAOC *web* e, in caso di adesione, il referente regionale comunica al RNAOC le strutture cliniche autorizzate dalla Regione alla prescrizione. L’amministratore della piattaforma provvede, quindi, ad accreditare le strutture indicate, insieme alla creazione di profili di accesso per i medici a queste affiliati e per i referenti regionali coinvolti. **L’accreditamento alla piattaforma *web*** di medici e referenti regionali prevede diverse modalità di accesso ai dati in base a **tre profili**:

1. il profilo di “supervisore”, corrispondente al responsabile dell’Unità Operativa (UO), può inserire i dati relativi ai pazienti ivi seguiti. Il “supervisore”, inoltre, crea gli “utenti” all’interno della medesima UO;
2. il profilo di “utente”, corrispondente al clinico, può inserire i dati relativi ai pazienti seguiti presso l’UO a cui è associato;
3. il profilo di “esaminatore regionale” consente di accedere alle statistiche, con le elaborazioni del conteggio di pazienti e visite, delle diagnosi, delle prescrizioni, delle cartelle chiuse e dei pazienti seguiti presso Centri e UO della propria Regione o assistiti presso altre Regioni con diagnosi e terapia di *deficit* di GH (GHD).

La **segnalazione di terapia** con rhGH al RNAOC *web* avviene a opera del clinico (accreditato presso la piattaforma *web* con il profilo di utente) che opera presso una UO del Centro regionale autorizzato alla diagnosi e alla prescrizione dell’rhGH: in occasione della visita al paziente, il medico inserisce i dati del soggetto, compilando la “scheda paziente” e registrandone i dati obbligatori (anagrafici, diagnostici, tipo di terapia e dosaggio). Affinché una scheda-visita possa essere conteggiata e considerata effettivamente tra le segnalazioni di terapia nel *database* del registro RNAOC, è necessario che venga “spedita”. La “spedizione” della visita rappresenta, quindi, sia un controllo della sua completezza che la sua validazione da parte del clinico.

In conclusione, il RNAOC è uno strumento a disposizione del SSN attraverso cui poter condurre un’efficace attività di farmaco-sorveglianza e controllo della spesa pubblica.



Avvalendosi della collaborazione degli utenti clinici che inseriscono regolarmente i dati dei pazienti, si crea così una **banca-dati** di importante valenza **per valutazioni epidemiologiche**, sebbene incompleta, visto che non tutte le Regioni italiane ne fanno parte.

Inoltre, grazie al RNAOC i clinici di centri periferici hanno la possibilità di **inviare i pazienti in centri di riferimento** regionale per la prescrizione del farmaco, permettendo al paziente di essere seguito in modo continuo (presa in carico) e di creare una rete di comunicazione tra periferia e centro. L'aggiornamento della piattaforma RNAOC *web* sottende quindi un costante aggiornamento scientifico per l'ampliamento delle indicazioni al trattamento e rimborsabilità, da parte delle commissioni regionali.

Presenta ad oggi molte **criticità**: per citarne alcune, la frammentarietà dei dati per la difficoltà di integrare i *database* delle Regioni non aderenti, prevalentemente dovuta a questioni tecniche; il mancato controllo per alcuni campi formali, quali l'inserimento dei criteri indicati dalla nota 39 per le diagnosi e "spedizione" della visita per il conteggio.

Riguardo la **rimborsabilità**, la bassa statura da GHD in età evolutiva rappresenta la maggior parte (69.15%) delle diagnosi segnalate nella piattaforma del RNAOC, con una prevalenza dei soggetti di genere maschile.

La **nota 39** è stata **aggiornata** nel **2020**. Le novità più rilevanti sono state:

- l'introduzione di una nuova fascia d'età (periodo neonatale) e delle relative condizioni per la prescrizione a carico del SSN;
- la riformulazione delle condizioni relative alla prescrizione in età di transizione;
- la precisazione su ruolo e attività di competenza delle Commissioni Regionali;
- le precisazioni sull'uso *off-label* del farmaco e sulla sua regolamentazione.

Inoltre, nel **2021** è stato pubblicato un nuovo aggiornamento: alle diagnosi dell'età evolutiva per cui è prevista la rimborsabilità dell'hGH da parte del SSN, è stata aggiunta la sindrome di Noonan (diagnosi confermata dall'analisi genetica) con statura ≤ -2.5 deviazioni *standard*.

Bibliografia

1. AIFA. [Nota 39](#).