



Servizio Politiche del Farmaco

ALLEGATO C

Scheda per la valutazione da parte della Commissione regionale GH circa l'eleggibilità al trattamento *off-label*.

Centro prescrittore		Medico richiedente	Nome	Cognome	Telefono		
Nome pz (solo iniziali)		Cognome pz (solo iniziali)			Sesso pz	F	M
Data di nascita pz		Età evolutiva pz					
MMG o PLS paziente (nome e cognome)							
Analisi strumentali che si allegano							

condizione clinica: BASSA STATURA IDIOPATICA			
<u>Definizione:</u>			
<ul style="list-style-type: none"> - altezza < -2 SDS con peso e lunghezza alla nascita normali, proporzioni corporee normali, - assenza di disturbi endocrini, psicosociali o nutrizionali, - assenza di anomalie cromosomiche e normale risposta del GH al test di stimolo. 			
CRITERI DI ELEGIBILITA' (indicare quale dei seguenti criteri)			
statura ≤ -2,5 SDS		peso e lunghezza alla nascita ≥ 3° centile	
proporzioni corporee normali (≤ 55,5%)		età ossea < 2 SDS	
statura corretta per età ossea ≤ target		velocità di crescita ≤ 10° centile	

condizione clinica: SINDROMI GENETICHE			
<u>Definizione:</u>			
<ul style="list-style-type: none"> - Le forme con anomalie strutturali del massiccio facciale medio con possibilità di anomalie della morfogenesi della zona ipotalamo-ipofisaria (es. anomalie della linea mediana). - Sindromi pluridismorfiche che hanno grave deficit staturale (statura <3 SDS; velocità di crescita <10° centile) o inferiore al 3° percentile delle curve specifiche. 			
CRITERI DI ELEGIBILITA' (indicare quale dei seguenti criteri)			
		statura <-3 SDS	
		velocità di crescita <10° centile	
Sindromi genetiche che hanno evidenza in letteratura di risultato positivo ma con statura ≤ - 3 SDS			
CRITERI DI ESCLUSIONE			
Sindromi pluridismorfiche con fragilità cromosomica o del DNA/RNA o aumentato rischio oncologico. (Tabella 1 Rapporto ISTISAN 15/31 ne capitolo "A supporto delle attività delle Commissioni regionali per il GH: dati della letteratura scientifica. Documento congiunto".			
Sindromi pluridismorfiche che hanno grave compromissione della vita di relazione o con grave ritardo mentale se non affetti da alterazioni metaboliche da deficit di GH (ipoglicemia e altre alterazioni metaboliche legate al GHD).			
Sindrome pluridismorfica con diagnosi specifica non affetta da GHD e con statura ≥ -3 SDS o ≥3° centile per curve specifiche.			



Servizio Politiche del Farmaco

condizione clinica: DISPLASIE SCHELETRICHE		
<p>Ipocondroplasia: determinata da mutazione di FGFR3 nel 50% dei casi, questi soggetti potrebbero essere candidati al trattamento con GH. Sono disponibili dati di statura definitiva, con un guadagno di circa +1 DS, sovrapponibile a quello dei soggetti con Sindrome di Turner. L'inizio precoce sembra maggiormente favorevole.</p> <p>Osteogenesi imperfetta: gruppo eterogeneo del tessuto connettivo, con fragilità ossea più o meno severa, vari gradi di bassa statura, sclere blu e anomalie dentali. La terapia standard per questa condizione per ridurre l'incidenza di fratture è quella con i bifosfonati. L'uso della terapia con GH in associazione ha dimostrato avere una azione positiva sul metabolismo del collagene, in particolare sulla densità minerale ossea e sulla velocità di crescita (studi su casistiche limitate, necessari studi più ampi e a lungo termine).</p>		
CRITERI DI ELEGIBILITA' (indicare quale dei seguenti criteri)		
Statura < - 3 DS	Velocità di crescita < 10° centile	Età d'inizio: prepubertà
CRITERI DI ESCLUSIONE		
Condizioni in cui non è stato riportato alcun beneficio dal trattamento con il GH e ciò sembra legato all'alterazione strutturale dell'osso: acondroplasia, pseudoacondroplasia, displasia spondilo-epifisaria, sindrome 3 M e altre condizioni per cui non è riportato alcun beneficio dal trattamento con GH.		

Relazione clinica a supporto della richiesta di utilizzo *off-label*:

- Il medico richiedente dichiara di aver ottenuto il consenso informato dal paziente (ovvero dal tutore legale dello stesso) per l'utilizzo off - label del farmaco a base di GH.
- Il medico dichiara di aver informato il paziente (ovvero il tutore legale dello stesso) che l'uso *off-label* di Somatropina, laddove autorizzato dalla Commissione regionale GH, non può essere messo a carico del SSR e pertanto è a pagamento dell'assistito. La prescrizione su ricetta bianca ripetibile è da esibire presso le farmacie pubbliche e private convenzionate.

Data _____

Il Medico richiedente
(timbro e firma)