

# AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 21 dicembre 2015

Proroga dell'inserimento del medicinale per uso umano «ataluren» (Translarna) nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648 per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne causata da una mutazione nonsense del gene per la distrofia in pazienti di eta' pari o superiore a 5 anni. (Determina n. 1675/2015). (15A09697)

(GU n.303 del 31-12-2015)

## IL DIRETTORE GENERALE

Visti gli articoli 8 e 9 del decreto legislativo 30 luglio 1999, n. 300;

Visto l'art. 48 del decreto-legge 30 settembre 2003 n. 269, convertito nella legge 24 novembre 2003, n. 326, che istituisce l'Agenzia Italiana del Farmaco ed in particolare il comma 13;

Visto il decreto del Ministro della salute di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e finanze in data 20 settembre 2004, n. 245 recante norme sull'organizzazione ed il funzionamento dell'Agenzia Italiana del Farmaco, a norma del comma 13 dell'art. 48 sopra citato, ed in particolare l'art. 19;

Visto il decreto del Ministro della Salute dell'8 novembre 2011, registrato dall'Ufficio centrale del bilancio al registro «Visti Semplici», foglio n. 1282, in data 14 novembre 2011, con cui e' stato nominato Direttore Generale dell'Agenzia italiana del farmaco il Prof. Luca Pani, a decorrere dal 16 novembre 2011;

Visto il decreto del Ministro della Salute 28 settembre 2004 che ha costituito la Commissione consultiva Tecnico-scientifica dell'Agenzia italiana del farmaco;

Vista la legge 23 dicembre 1996 n. 648, di conversione del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, relativa alle misure per il contenimento della spesa farmaceutica e la determinazione del tetto di spesa per l'anno 1996, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale n. 300 del 23/12/1996;

Visto il provvedimento della Commissione Unica del Farmaco (CUF) datato 20 luglio 2000, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale n. 219 del 19 settembre 2000 con errata-corrige nella Gazzetta Ufficiale n. 232 del 04/10/00, concernente l'istituzione dell'elenco dei medicinali innovativi la cui commercializzazione e' autorizzata in altri Stati ma non sul territorio nazionale, dei medicinali non ancora autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica e dei medicinali da impiegare per una indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata, da erogarsi a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale qualora non esista valida alternativa terapeutica, ai sensi dell'art. 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996 n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996 n. 648;

Visto ancora il provvedimento CUF datato 31 gennaio 2001

concernente il monitoraggio clinico dei medicinali inseriti nel succitato elenco, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale n. 70 del 24 marzo 2001;

Vista la determinazione dell'AIFA, datata 2 dicembre 2014, concernente l'inserimento del medicinale ataluren (Translarna) nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne causata da una mutazione nonsense del gene per la distrofina in pazienti di eta' pari o superiore a 5 anni, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale n. 292 del 17/12/2014;

Ritenuto opportuno consentire la prescrizione di detto medicinale a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale per i pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne causata da una mutazione nonsense del gene per la distrofia in pazienti di eta' pari o superiore a 5 anni;

Ritenuto necessario dettare le condizioni alle quali detto medicinale viene inserito nell'elenco di cui al citato provvedimento datato 20 luglio 2000, concernente l'istituzione dell'elenco stesso;

Tenuto conto della decisione assunta dalla Commissione consultiva Tecnico-scientifica (CTS) dell'AIFA nella riunione del 9-11 dicembre 2015 - Stralcio Verbale n. 4;

Ritenuto, pertanto, di prorogare l'inserimento del medicinale «ataluren» (Translarna), nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale istituito ai sensi della legge 23 dicembre 1996 n. 648, per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne causata da una mutazione nonsense del gene per la distrofia in pazienti di eta' pari o superiore a 5 anni;

Determina:

Art. 1

L'inserimento del medicinale «ataluren» (Translarna), di cui alla Determinazione dell'AIFA datata 2 dicembre 2014, citata in premessa, nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale istituito ai sensi della legge n. 648/96, e' prorogato fino ad approvazione della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio.

Art. 2

La presente determinazione ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana.

Roma, 21 dicembre 2015

Il direttore generale: Pani