

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 2 dicembre 2014

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 distrofina in pazienti di età pari o superiore a 5 anni. (Determina n. 1430/2014). (14A09634)

(GU n.292 del 17-12-2014)

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 è 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 dicembre 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 su Gazzetta Ufficiale n. 232 del 04/10/00, concernente l'istituzione dell'elenco dei medicinali innovativi la cui commercializzazione è 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 G.U. n. 70 del 24 marzo 2001;

Considerato che la ditta si e' impegnata formalmente a presentare una richiesta di negoziazione di prezzo e rimborso per il medicinale Translarna entro novembre 2014 e ha altresì comunicato l'avvenuto completamento dell'arruolamento dei pazienti nello studio clinico 020 relativo al medesimo medicinale.

Atteso che il prodotto medicinale ataluren (Translarna) ha superato la procedura di valutazione per la registrazione centralizzata presso l'EMA (autorizzazione all'immissione in commercio accordata dalla Commissione europea in data 31/07/2014) per la stessa indicazione di cui sopra, e cioè: «Translarna e' indicato per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne conseguente a una mutazione nonsense nel gene della distrofina (nonsense mutation Duchenne Muscular Dystrophy, nmDMD) nei pazienti deambulanti di eta' pari ad almeno 5 anni.

L'efficacia non e' stata dimostrata nei pazienti non deambulanti. La presenza di una mutazione nonsense del gene della distrofina deve essere stabilita mediante analisi genetiche»;

Ritenuto opportuno consentire a soggetti affetti da tale patologia la prescrizione di detto medicinale a totale carico del Servizio sanitario nazionale, nelle more della sua prossima commercializzazione;

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 21-22-23 ottobre 2014 - Stralcio Verbale n. 29 di concedere l'inserimento del farmaco nella lista di cui alla legge 648/96 per il periodo massimo di un anno dopo il quale sara' necessario ottenere, per ciascuno dei pazienti trattati, una relazione clinica dettagliata che consenta di approfondire il reale profilo di beneficio-rischio del farmaco;

Ritenuto pertanto di includere il 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 le indicazioni terapeutiche citate in premessa;

Determina

Art. 1

Il medicinale ataluren (Translarna) e' inserito, ai sensi dell'art. 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648, nell'elenco istituito col provvedimento della Commissione unica del farmaco, per le indicazioni terapeutiche citate in premessa.

Art. 2

Il medicinale di cui all'art. 1 e' erogabile a totale carico del Servizio sanitario nazionale 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, nel rispetto delle condizioni per esso indicate nell'allegato 1 che fa parte integrante della presente determinazione e con il seguente limite temporale: fino ad approvazione della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio, o al massimo per 12 mesi dalla data di pubblicazione in G.U.

Art. 3

La presente determinazione ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana.
Roma, 2 dicembre 2014

Il direttore generale: Pani

Allegato 1

Denominazione: Ataluren

Indicazione terapeutica: Ataluren e' indicato per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne conseguente a una mutazione nonsense nel gene della distrofina (nonsense mutation Duchenne Muscular Dystrophy, nmDMD) nei pazienti deambulanti di eta' pari ad almeno 5 anni.

Criteri di inclusione: pazienti deambulanti di eta' pari o superiore a 5 anni affetti da distrofia muscolare di Duchenne causata da una mutazione nonsense del gene per la distrofina.

La diagnosi di nmDMD deve essere confermata geneticamente.

Criteri di esclusione: pazienti che non presentano una mutazione nonsense. Uso concomitante di aminoglicosidi per via endovenosa.

Periodo di prescrizione a totale carico del Servizio sanitario nazionale: fino a nuova determinazione dell'Agenzia Italiana del Farmaco.

Piano terapeutico: Ataluren e' disponibile in bustine da 125, 250 e 1000 mg.

La posologia raccomandata per Ataluren prevede 3 somministrazioni/die, alla dose di 10 mg/kg di peso corporeo al mattino, 10 mg/kg di peso corporeo a mezzogiorno e 20 mg/kg di peso corporeo alla sera (per una dose giornaliera totale di 40 mg/kg di peso corporeo).

Altre condizioni da osservare: le modalita' previste dagli articoli 4, 5, 6 del provvedimento datato 20 luglio 2000 citato in premessa, in relazione a:

art. 4) istituzione del registro, rilevamento e trasmissione dei dati di monitoraggio clinico ed informazioni riguardo a sospensioni del trattamento (mediante apposita scheda come da Provvedimento 31 gennaio 2001, pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale n. 70 del 24 marzo 2001);

art. 5) acquisizione del consenso informato, modalita' di prescrizione e di dispensazione del medicinale;

art. 6) rilevamento e trasmissione dei dati di spesa.

Parte di provvedimento in formato grafico