

# AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 28 giugno 2017

Inserimento del medicinale edaravone 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 sclerosi laterale amiotrofica. (Determina n. 1224/2017). (17A04657)

(GU n.153 del 3-7-2017)

## 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;

Visti il regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell'ordinamento del personale e la nuova dotazione organica, definitivamente adottati dal Consiglio di amministrazione dell'AIFA, rispettivamente, con deliberazione 8 aprile 2016, n. 12, e con deliberazione 3 febbraio 2016, n. 6, approvate ai sensi dell'art. 22 del decreto 20 settembre 2004, n. 245, del Ministro della salute di concerto con il Ministro della funzione pubblica e il Ministro dell'economia e delle finanze, della cui pubblicazione sul proprio sito istituzionale e' stato dato avviso nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 140 del 17 giugno 2016;

Visto il decreto del Ministro della salute 29 marzo 2012, n. 53 di modifica al regolamento e funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco (AIFA) (decreto ministeriale n. 245/2004) in attuazione dell'art. 17, comma 10, del decreto-legge 6 luglio 2011, n. 98, convertito, con modificazioni, dalla legge 15 luglio 2011, n. 111;

Visto il decreto del Ministro della salute del 17 novembre 2016, vistato ai sensi dell'art. 5, comma 2, del decreto legislativo n. 123/2011 dall'Ufficio centrale del bilancio presso il Ministero della salute in data 18 novembre 2016, al n. 1347, con cui e' stato nominato direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco il prof. Mario Giovanni Melazzini;

Visto il decreto del Ministro della salute del 31 gennaio 2017, vistato ai sensi dell'art. 5, comma 2, del decreto legislativo n. 123/2011 dall'Ufficio centrale del bilancio presso il Ministero della salute in data 6 febbraio 2017, al n. 141, con cui il prof. Mario Giovanni Melazzini e' stato confermato direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'art. 2, comma 160, del decreto-legge 3 ottobre 2006, n. 262, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2006, n. 286;

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 nella Gazzetta Ufficiale n. 232 del 4 ottobre 2000, 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;

Considerata la recente autorizzazione FDA all'impiego di edaravone (Radicava®) per il trattamento della sclerosi laterale amiotrofica;

Considerata l'efficacia, del trattamento con edaravone in un sottogruppo selezionato di pazienti affetti da sclerosi laterale amiotrofica evidenziata in uno studio di fase III, in doppio cieco, randomizzato verso placebo;

Ritenuto opportuno consentire la prescrizione di detto medicinale a totale carico del Servizio sanitario nazionale per il trattamento di pazienti selezionati secondo i criteri del suddetto studio clinico;

Tenuto conto della decisione assunta dalla Commissione consultiva tecnico-scientifica (CTS) dell'AIFA nella riunione del 14-16 giugno 2017 - stralcio verbale n. 24;

Ritenuto, pertanto, di includere il medicinale edaravone 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 di pazienti con diagnosi definitiva o probabile di sclerosi laterale amiotrofica, selezionati secondo specifici criteri;

Determina:

Art. 1

Il medicinale edaravone 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 di cui all'art. 2.

Art. 2

Il medicinale di cui all'art. 1 e' erogabile a totale carico del Servizio sanitario nazionale per il trattamento di pazienti con diagnosi definitiva o probabile di sclerosi laterale amiotrofica, secondo specifici criteri indicati nell'allegato 1 che fa parte integrante della presente determinazione.

Art. 3

La presente determinazione ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana e ha una validita' di dodici mesi al termine dei quali la permanenza di edaravone nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648 sara' rivalutata.

Roma, 28 giugno 2017

Il direttore generale: Melazzini

## Allegato 1

Denominazione: edaravone

Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con diagnosi definita o probabile di sclerosi laterale amiotrofica.

Criteri di inclusione:

diagnosi di sclerosi laterale amiotrofica definita o probabile secondo i criteri rivisti di El Escorial;

eta'  $\geq$  18 anni;

punteggio  $\geq$  2 in ogni item della scala ALS Functional Rating Scale-Revised (ALSFRS-R);

funzionalita' respiratoria caratterizzata da un valore di Capacita' Vitale Forzata (CVF)  $\geq$  80% del teorico;

durata di malattia dall'esordio dei sintomi  $\leq$  2 anni;

riduzione di 1-4 punti nel punteggio ALS Functional Rating Scale-Revised nelle 12 settimane precedenti all'inizio del trattamento.

Criteri di esclusione:

concomitanza con altre significative patologie neurologiche o neurodegenerative;

patologie significative ad organi e apparati;

clearance della creatinina  $\leq$  50 mL/min;

donne in stato di gravidanza;

pazienti non in grado di comprendere o fornire un consenso informato al trattamento.

Periodo di prescrizione a totale carico del Servizio sanitario nazionale: dodici mesi, al termine dei quali sara' rivalutata la permanenza di edaravone nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648.

Piano terapeutico: il piano terapeutico prevede un ciclo iniziale (ciclo 1) di somministrazione endovenosa di edaravone 60 mg/die per 14 giorni consecutivi, seguiti da 14 giorni di pausa. Al ciclo 2 e per i cicli successivi, edaravone 60 mg/die e' somministrato endovena per 10 giorni in un periodo di 2 settimane (per esempio, dal lunedì al venerdì di due settimane consecutive), seguito da ulteriori 2 settimane di sospensione.

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 nella 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.

#### Dati da inserire nel registro

Monitorare nel corso del trattamento con edaravone i seguenti parametri clinici:

misurazione del punteggio ALSFRS-R al basale e ogni 3 cicli, con relativa variazione rispetto al basale;

misurazione della CVF al basale ed ogni 3 cicli, con relativa variazione rispetto al basale;

punteggio ALSAQ-5 al basale ed ogni 3 cicli.