

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 23 giugno 2014

Inserimento del medicinale «elosulfase alfa (Vimizim)» nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, come «terapia enzimatica sostitutiva (ERT) per il trattamento della mucopolisaccaridosi di tipo IV A (MPS IV A, Sindrome di Morquio A)». (Determina n. 623/2014). (14A04798)

(GU n.147 del 27-6-2014)

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 nella Gazzetta Ufficiale n. 232 del 4 ottobre 2000, 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 Gazzetta Ufficiale n. 70 del 24

marzo 2001;

Atteso che il medicinale «elosulfase alfa (Vimizim)» ha ottenuto nel 2009 lo status di medicinale orfano nell'UE e negli USA e che in data 20 febbraio 2014 il Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) ha adottato un'opinione positiva alla sua immissione in commercio per la stessa indicazione di cui sopra, e cioè: «trattamento della mucopolisaccaridosi di tipo IV A (MPS IV A, Sindrome di Morquio A)»;

Tenuto conto che attualmente non esistono terapie per la MPS IVA e il farmaco e' quindi l'unica alternativa terapeutica disponibile per trattare pazienti affetti da mucopolisaccaridosi di tipo IV A;

Ritenuto opportuno consentire a soggetti affetti da tale patologia la prescrizione di detto medicinale a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale «nelle more» di una sua prossima commercializzazione in Europa e sul territorio nazionale;

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 del parere espresso dalla Commissione consultiva tecnico-scientifica (CTS) dell'AIFA nella riunione del 12-14 maggio 2014 - Verbale n. 25;

Ritenuto pertanto di includere il medicinale «elosulfase alfa (Vimizim)» nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale istituito ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, come «terapia enzimatica sostitutiva (ERT) per il trattamento della mucopolisaccaridosi di tipo IV A (MPS IV A, Sindrome di Morquio A)»;

Determina:

Art. 1

Il medicinale «elosulfase alfa (Vimizim)» 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 citato in premessa.

Art. 2

Il medicinale di cui all'art. 1 e' erogabile a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale per l'indicazione terapeutica: «terapia enzimatica sostitutiva (ERT) per il trattamento della mucopolisaccaridosi di tipo IV A (MPS IV A, Sindrome di Morquio A)», nel rispetto delle condizioni per esso indicate nell'allegato 1, che fa parte integrante della presente determinazione, e a condizione che ai pazienti (o ai loro tutori legali) venga fornita un'informazione adeguata sui dati di efficacia e sicurezza attualmente disponibili e che i clinici si impegnino a fornire un follow up semestrale sul rapporto rischio beneficio del farmaco.

Art. 3

La presente determinazione ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana.
Roma, 23 giugno 2014

Il direttore generale: Pani

Allegato 1

Denominazione: elosulfase alfa
- (Vimizim - BioMarin Europe Ltd.).

Indicazione terapeutica: terapia enzimatica sostitutiva (ERT) per il trattamento della mucopolisaccaridosi di tipo IV A (MPS IV A, Sindrome di Morquio A).

Criteri di inclusione: pazienti affetti da mucopolisaccaridosi IVA, con dimostrato deficit di N-acetilgalattosamina 6-solfatasi.

Criteri di esclusione: nessuno.

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

Piano terapeutico: Ogni flaconcino da 5 ml contiene 5 mg di elosulfase alfa (rh- N-acetilgalattosamina 6-solfatasi umana (rhGALNS) (1.0 mg/ml).

Il paziente dovrà essere pesato prima della prima infusione e successivamente ogni sei mesi.

Il paziente riceverà infusioni settimanali (7 ± 3 giorni) alla dose di 2 mg/Kg di Elosulfase alfa.

Parte di provvedimento in formato grafico