

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 18 aprile 2014

Ulteriore proroga dell'inserimento del medicinale afamelanotide nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, per l'indicazione terapeutica: «Trattamento della protoporfiria eritropoietica». (14A03561)

(GU n.103 del 6-5-2014)

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 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 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 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;

Vista la Determinazione dell'Agenzia Italiana del Farmaco datata 5 maggio 2010, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale n. 112 del 15 maggio 2010, concernente l'inserimento, nel succitato elenco, del medicinale afamelanotide, in assenza di valida alternativa terapeutica disponibile, per l'indicazione terapeutica: «Trattamento della protoporfiria eritropoietica» e con il seguente limite temporale: fino ad approvazione della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio, o al massimo per 24 mesi;

Vista inoltre la Determinazione dell'Agenzia Italiana del Farmaco datata 2 maggio 2012, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale n. 113 del 16 maggio 2012, concernente la proroga dell'inserimento, nel succitato elenco, del medicinale afamelanotide in considerazione del fatto il dossier per la richiesta dell'autorizzazione alla commercializzazione era stato depositato all'EMA a febbraio 2012 e si prevedeva una durata della procedura di circa un anno;

Visto, in considerazione dell'approssimarsi della data di scadenza dei termini, che viene stimato che entro giugno 2014 l'EMA possa comunicare la propria opinione;

Ritenuto, tuttavia, di attribuire al suddetto medicinale una innovazione terapeutica importante, perche' destinata al trattamento di una patologia finora priva di adeguato trattamento e che, ove si procedesse all'esclusione, verrebbe negata ai pazienti la possibilita' di intraprendere o proseguire tale terapia;

Tenuto conto della decisione assunta dalla Commissione consultiva Tecnico-scientifica (CTS) dell'AIFA nella riunione del 7, 8 e 9 aprile 2014, come da stralcio verbale n. 24;

Ritenuto pertanto di prorogare la permanenza del medicinale afamelanotide di cui alla Determinazione dell'AIFA datata 5 maggio 2010, sopra citata, nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale istituito ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648;

Determina:

Art. 1

L'inserimento del medicinale afamelanotide, di cui alle Determinazioni dell'AIFA citate in premessa, nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale istituito ai sensi della legge n. 648/96, e' prorogato per ulteriori 12 mesi, nel rispetto delle condizioni per esso indicate nell'allegato 1 che fa parte integrante della presente determinazione.

Art. 2

L'Azienda produttrice e' tenuta a presentare il dossier di formale domanda di negoziazione del prezzo all'Aifa, al momento del recepimento del parere favorevole del CHMP.

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

Roma, 18 aprile 2014

Il direttore generale: Pani

Allegato 1

Denominazione: afamelanotide - (Scenesse - Clinuvel Pharmaceuticals).

Indicazione terapeutica: trattamento della Protoporfiria Eritropoietica (EPP).

Criteri di inclusione: diagnosi di protoporfiria eritropoietica confermata da livelli elevati di protoporfirina IX. Pazienti di eta' compresa fra i 18 ed i 70 anni. Consenso informato.

Criteri di esclusione: insufficienza epatica, melanoma o nevi displastici, sindrome di Bowen, carcinoma delle cellule basali o squamose, lesioni cancerose o pre-cancerose della pelle, copresenza di altre fotodermatosi, disfunzione d'organi a deviazione clinicamente significativa dalla norma in test di laboratorio, abuso di alcol o farmaci nei precedenti 12 mesi, stato di gravidanza, donne in eta' fertile senza adeguate misure contraccettive (contraccettivi orali, diaframma e spermicida, impianto intrauterino), uomini sessualmente attivi i cui partner non usino barriere contraccettive fino a 3 mesi dalla fine della somministrazione, uso di medicazione che possa causare fotosensibilita' o pigmentazione della pelle.

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

Piano terapeutico: Il piano terapeutico prevede la somministrazione dell'impianto sottocutaneo riassorbibile in corrispondenza della cresta iliaca, previa anestesia locale praticata mediante iniezione sottocutanea o per applicazione topica.

Tutti i pazienti che faranno richiesta di essere trattati con «afamelanotide» per poter accedere al piano terapeutico verranno precedentemente valutati con i seguenti esami di laboratorio:

- dosaggio della proto porfirina IX nel sangue;
- emocromo;
- transaminasi;
- bilirubina tot e dir;
- azotemia, creatininemia;
- ACTH, cortisolemia;
- test di gravidanza nelle donne.

L'impianto verra' effettuato, previa approvazione del consenso informato.

Il periodo che deve intercorrere tra un impianto e l'altro non puo' essere inferiore ai 50 giorni \pm 3.

Il medico che somministrera' il farmaco valuterà ogni volta l'opportunita' di effettuare l'impianto, tenendo conto delle esigenze e delle condizioni generali del paziente.

Il piano terapeutico verra' rinnovato ogni 6 mesi.

Costo indicativo del trattamento: Prezzo non superiore a € 5.375,00 per impianto.

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.

Parte di provvedimento in formato grafico

ALLEGATO I

Denominazione: afamelanotide - (Scenesse - Clinuvel Pharmaceuticals).

Indicazione terapeutica: trattamento della Protoporfiria Eritropoietica (EPP).

Criteri di inclusione: diagnosi di protoporfiria eritropoietica confermata da livelli elevati di protoporfirina IX. Pazienti di età compresa fra i 18 ed i 70 anni. Consenso informato.

Criteri di esclusione: insufficienza epatica, melanoma o nevi displastici, sindrome di Bowen, carcinoma delle cellule basali o squamose, lesioni cancerose o pre-cancerose della pelle, copresenza di altre fotodermatosi, disfunzione d'organi a deviazione clinicamente significativa dalla norma in test di laboratorio, abuso di alcol o farmaci nei precedenti 12 mesi, stato di gravidanza, donne in età fertile senza adeguate misure contraccettive (contraccettivi orali, diaframma e spermicida, impianto intrauterino), uomini sessualmente attivi i cui partner non usino barriere contraccettive fino a 3 mesi dalla fine della somministrazione, uso di medicazione che possa causare fotosensibilità o pigmentazione della pelle.

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

Piano terapeutico: Il piano terapeutico prevede la somministrazione dell'impianto sottocutaneo riassorbibile in corrispondenza della cresta iliaca, previa anestesia locale praticata mediante iniezione sottocutanea o per applicazione topica.

Tutti i pazienti che faranno richiesta di essere trattati con «afamelanotide» per poter accedere al piano terapeutico verranno precedentemente valutati con i seguenti esami di laboratorio:

dosaggio della proto porfirina IX nel sangue;
emocromo;
transaminasi;

bilirubina tot e dir;

azotemia, creatininemia;

ACTH, cortisolemia;

test di gravidanza nelle donne.

L'impianto verrà effettuato, previa approvazione del consenso informato.

Il periodo che deve intercorrere tra un impianto e l'altro non può essere inferiore ai 50 giorni \pm 3.

Il medico che somministrerà il farmaco valuterà ogni volta l'opportunità di effettuare l'impianto, tenendo conto delle esigenze e delle condizioni generali del paziente.

Il piano terapeutico verrà rinnovato ogni 6 mesi.

Costo indicativo del trattamento: Prezzo non superiore a € 5.375,00 per impianto.

Altre condizioni da osservare:

le modalità 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, modalità di prescrizione e di dispensazione del medicinale;

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

DATI DA INSERIRE NEL REGISTRO PRIMA DI CIASCUN TRATTAMENTO

	Prima del trattamento
Raccordo anamnestico	+
Dosaggio della proto porfirina IX nel sangue	+
Emocromo	+
Transaminasi	+
Bilirubina tot e dir	+
Azotemia, creatininemia	+
ACTH, cortisolemia	+
Test di gravidanza nelle donne	+

