

# AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 11 novembre 2014

Inserimento della immunoglobulina sottocutanea nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, per i pazienti affetti da polineuropatia cronica infiammatoria demielinizzante (CIDP) nei quali sia opportuno proseguire il trattamento già iniziato per via sottocutanea. (Determina n. 1334/2014). (14A08911)

(GU n.267 del 17-11-2014)

## 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 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;

Considerato che nel corso degli ultimi anni i pazienti di CIDP, patologia rara, sono stati curati con terapie off-label a base di immunoglobuline umane somministrate per via endovenosa presso una struttura sanitaria ovvero per via sottocutanea presso il proprio domicilio;

Atteso che di recente l'Aifa ha concesso l'indicazione a tre farmaci somministrabili per via endovenosa e che dopo tali provvedimenti autorizzativi, i pazienti efficacemente in cura da anni con i farmaci sottocutanei somministrabili a domicilio e che hanno visto migliorare la qualità della loro vita, potrebbero essere quanto prima spostati alla somministrazione dei farmaci autorizzati e costretti a un trattamento endovenoso in ospedale;

Ritenuto opportuno consentire al centro di riferimento il rinnovo di piani terapeutici che prevedono la continuità terapeutica di farmaci già assunti e ai soggetti affetti da tale patologia la prescrizione di detto medicinale a totale carico del Servizio sanitario 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 21-22-23 ottobre 2014 - Verbale n. 29;

Ritenuto pertanto di includere l'immunoglobulina sottocutanea 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 immunoglobulina sottocutanea è 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 è erogabile a totale carico del Servizio sanitario nazionale per i pazienti affetti da polineuropatia cronica infiammatoria demielinizzante (CIDP) nei quali sia opportuno proseguire il trattamento già iniziato per via sottocutanea.

Art. 3

La presente determinazione ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana.  
Roma, 11 novembre 2014

Il direttore: Pani

Allegato 1

Denominazione: immunoglobulina umana sottocutanea.

Indicazione terapeutica: pazienti affetti da polineuropatia cronica infiammatoria demielinizzante (CIDP) nei quali sia opportuno proseguire il trattamento già iniziato per via sottocutanea.

Criteri di inclusione: pazienti già trattati in precedenza con Immunoglobuline per via endovenosa e successivamente per via sottocutanea.

La diagnosi di polineuropatia deve essere stata effettuata

secondo i criteri clinici-elettrofisiologici della Peripheral Nerve Society e della European Federation Neurological Societies, ultima edizione del 2010 (Eur J Neurol 17:356-63, 2010).

I pazienti debbono presentare (su responsabilita' del Neurologo prescrittore) una documentata risposta clinica alla terapia con immunoglobuline per via sottocutanea.

Criteri di esclusione: Documentata mancata risposta alla terapia.

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

Piano terapeutico: La somministrazione per via sottocutanea potra' variare dal 1 a 2 g/kg ogni mese, suddivisa in infusioni settimanali. Tale range e' quello descritto in letteratura per la terapia di attacco (2 g/Kg/mese) e di mantenimento (1g/Kg/mese). E' prevista la riduzione della dose mensile sino alla totale sospensione della terapia in caso di buona risposta clinica e stabilita' nel tempo del paziente.

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

|   | prima del primo ciclo di trattamento dopo l'inserimento del paziente nel registro | Dopo tre mesi di terapia dal momento dell'inserimento nel registro |
|---|---|--|
| Punteggio scala di disabilita' Rankin, ONLS o INCAT | +   | +  |
| Emocromo  | +   | +  |
| piastrine   | +   | +  |
| formula leucocitaria                                | +   | +  |
| AST, ALT, gammaGT                                   | +   | +  |
| Bilirubina diretta e indiretta                      | +   | +  |
| eGFR  | +   | +  |