

# AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 22 gennaio 2014

Inserimento del medicinale «metirapone (Metopirone)» nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale, per il trattamento dei pazienti con sindrome di Cushing. (Determina n. 49/2014). (14A00489)

(GU n.23 del 29-1-2014)

## 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 «Metirapone» (Metopirone) e' gia' registrato per il trattamento della sindrome di Cushing in diversi Paesi europei ed extra-europei e che l'azienda titolare ha pianificato di registrare il prodotto in altri Paesi compresa l'Italia;

Tenuto conto che pasireotide e' un trattamento indicato solo nella variante ipofisaria, o malattia di Cushing, che piu' dei 2/3 dei pazienti con malattia di Cushing, poiche' non responsivi al pasireotide, risultano privi di alternative di trattamento medico e che mitotano e' inserito in elenco 648 esclusivamente per le forme severe di tale sindrome, e che «Metirapone» (Metopirone) e' quindi l'unica alternativa terapeutica disponibile per trattare i suddetti pazienti;

Ritenuto opportuno consentire a soggetti affetti da tale patologia, per cui non sono disponibili valide opzioni terapeutiche, la prescrizione di detto medicinale a totale carico del Servizio sanitario nazionale «nelle more» della sua prossima registrazione in Italia;

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 2-5 dicembre 2013 - stralcio verbale n. 20;

Ritenuto pertanto di includere il medicinale «Metirapone» (Metopirone) 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 dei pazienti con sindrome di Cushing;

Determina:

Art. 1

Il medicinale METIRAPONE (Metopirone) 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: trattamento dei pazienti con sindrome di Cushing, nel rispetto delle condizioni per esso indicate 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.

Roma, 22 gennaio 2014

Il direttore generale: Pani

Allegato 1

Denominazione: METIRAPONE.

Indicazione terapeutica: trattamento dei pazienti con sindrome di Cushing.

Criteri di inclusione: pazienti adulti e pediatrici con sindrome di Cushing da ACTH ectopico, nelle forme di sindrome di Cushing ACTH

indipendenti (adenomi surrenalici, iperplasia surrenalica, carcinoma surrenalico) e nei pazienti con malattia di Cushing che non rispondono alla pasireotide o, per ragioni di sicurezza, nei casi in cui la pasireotide risulti controindicata.

Criteri di esclusione: insufficienza corticosurrenalica primaria. Ipersensibilita' al «Metirapone». Gravidanza.

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

Piano terapeutico:

farmaco per uso orale. Le capsule devono essere assunte con del latte o a stomaco pieno per minimizzare la nausea e il vomito che potrebbero alterarne l'assorbimento. Per la gestione della sindrome di Cushing il dosaggio deve essere aggiustato sulla base delle necessita' del paziente: un dosaggio giornaliero da 250 mg fino a 6 g puo' essere necessario per ripristinare i normali livelli di cortisolo;

ai pazienti pediatrici deve essere somministrata una dose inferiore, basandosi su una posologia di sei dosi di 15 mg/kg ogni 4 ore, con un dosaggio minimo di 250 mg ogni 4 ore.

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: Cortisolemia; prima del trattamento: X; dopo trattamento (3-6 mesi): X.