Direzione Generale Cura della Persona, Salute e Welfare

COMMISSIONE REGIONALE DEL FARMACO
Verbale riunione del giorno 11 dicembre 2024 ore 14:30 – 18:05

La riunione si è tenuta in videoconferenza attraverso piattaforma Teams**.**

Presenze CRF:

Dott. Antonio Balotta	presente
Dott.ssa Maria Barbagallo	presente
Dott. Giovanni Maria Centenaro	presente
Dott.ssa Rossana De Palma	assente g.
Dott. Carlo Descovich	presente
Dott.ssa Rosaria Di Lorenzo	assente g.
Dott. Nicola Cosimo Facciolongo	presente
Dott. Marco Fusconi	presente
Dott. Marcello Galvani	presente
Dott. Giuseppe Longo	assente g.
Dott. Nicola Magrini	presente
Dott.ssa Marcora Mandreoli	presente
Dott. Giorgio Mazzi	presente
Dott. Alessandro Navazio	presente
Dott.ssa Giovanna Negri	presente
Dott.ssa Maria Giulia Negri	presente
Dott. Giovanni Pinelli	assente g.
Dott.ssa Silvia Riccomi	presente
Dott.ssa Lucia Rossi	presente
Dott.ssa Elisa Sangiorgi	presente
Dott. Denis Savini	presente
Dott.ssa Alessandra Sforza	presente
Dott. Stefano Tamberi	assente g.
Prof.ssa Valeria Tugnoli	presente
Prof. Pierluigi Viale	assente g.

Presenze Segreteria Scientifica:
Dott.ssa Roberta Giroldini, Dott.ssa Lucia Magnano, Dott.ssa Elisabetta Pasi, Dott.ssa Anna Maria Potenza, Dott.ssa Margherita Selleri, Dott.ssa Julia Szyszko.

Hanno partecipato, inoltre, in qualità di uditori: il Dott. Giancarlo Gargano, il Prof. Federico Marchetti, il Prof. Riccardo Masetti, la Dott.ssa Marta Morotti, la Dott.ssa Cecilia Natali, la Dott.ssa Ester Sapigni, la Dott.ssa Sandra Sottili.

Ha partecipato, inoltre, alla riunione il Dott. Marco Marietta in qualità di esperto ematologo esterno per la discussione del punto 2.3 dell'ordine del giorno.

1.1. Calendario prossime riunioni e proroga della CRF

Presidente e Coordinatore scientifico acquisiscono la disponibilità dell'attuale Commissione Regionale del Farmaco ad essere prorogata al massimo fino a giugno 2025, al fine di non procedere in questa fase al rinnovo, valutato l'attuale contesto di avvicendamento tra vecchia e nuova Giunta regionale.
Viene approvato il calendario delle riunioni fino a maggio 2025:

- 23 gennaio 2025
- 27 febbraio 2025
- 27 marzo 2025
- 17 aprile 2025
- 22 maggio 2025

Le date in rosso sono da confermare.

1.2. Conflitto di interessi e Gruppi di Lavoro

La Direttiva sulla gestione dei conflitti di interessi è stata aggiornata a marzo 2024 (Determina n. 5046 del 11/03/2024). Dal suo aggiornamento non sono stati nominati nuovi Gruppi di Lavoro. Tuttavia, a breve è prevista la formalizzazione/nomina di Gruppi di Lavoro e la CRF stessa nei prossimi mesi verrà rinominata.
Viene osservato, inoltre, che altri Enti (es. EMA) stanno adottando politiche di gestione dei conflitti di interessi simili a quelle della Regione Emilia-Romagna.
Si propone, pertanto, di valutare, in occasione delle prossime nomine in cui l'attuale aggiornamento della Direttiva verrà applicato, eventuali criticità emergenti e concordare una proposta per superarle.

1.3. Comunicazioni ad AIFA sulle classi equivalenti

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco propone di inviare una Nota ad AIFA al fine di chiedere di valutare la possibilità di una sovrapponibilità terapeutica per gli usi prevalenti tra i principi attivi appartenenti alle classi:

- MoAb inibitori di PDL-1;
- Inibitori della chinasi ciclina-dipendente.

Si concorda che la Nota venga predisposta dalla Segreteria Scientifica.

1.4. Definizione di una strategia regionale per la gestione di proposte di fornitura di farmaci Cnn o di loro campionatura

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco decide di rivedere il Documento PTR n. 211 "Criteri per la valutazione dei farmaci C(nn) da parte della Commissione regionale del farmaco" al fine di aggiornarlo per tenere conto del contesto attuale relativamente alle proposte di fornitura di farmaci Cnn (es. a prezzo simbolico, mediante campionatura, ….). Nelle more dell'aggiornamento, il Documento PTR n. 211 viene sospeso.

2.1. Farmaci dermatologici: lebrikizumab nel trattamento della dermatite atopica moderata-grave

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco, considerato che:

- dal verbale della riunione del CdA di AIFA del 20 novembre 2024 risulta approvata l'ammissione alla rimborsabilità SSN del farmaco lebrikizumab, indicato per il "trattamento della dermatite atopica da moderata a severa negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni e con un peso corporeo minimo di 40 kg, eleggibili per la terapia sistemica", con classificazione in classe H RRL. E' attesa, pertanto, a breve la pubblicazione in Gazzetta Ufficiale della determina di rimborsabilità del farmaco;
- è attivo un Gruppo di Lavoro sui farmaci biologici in dermatologia che ha elaborato un Documento di indirizzo sui nuovi farmaci per il trattamento della dermatite atopica grave nella popolazione adulta e pediatrica (Documento PTR n. 340);
- sono attivi in Regione Emilia-Romagna alcuni trattamenti con lebrikizumab a seguito della accettazione della proposta di cessione del farmaco a prezzo simbolico;

decide di affidare sin da ora al Gruppo di Lavoro sui farmaci biologici in dermatologia il mandato di definire il posto in terapia di lebrikizumab rispetto alle altre opzioni disponibili per il trattamento della dermatite atopica ed aggiornare il Documento PTR n. 340.

2.2. Farmaci per il trattamento dell'emofilia A, le conclusioni del GdL MEC

La Commissione Regionale del Farmaco viene informata del fatto che nella riunione del Gruppo di Lavoro regionale sulle Malattie Emorragiche Congenite, il Gruppo di Lavoro ha:

- concordato le modalità operative per la valutazione e successivo avvio al trattamento con terapia genica per l'emofilia A dei pazienti candidati, in accordo con il percorso individuato e le valutazioni approvate dalla CRF;
- considerato di confermare le valutazioni rispetto al posto in terapia di emicizumab, già condivise con la CRF.

2.3. Sutimlimab nel trattamento dell'anemia emolitica in pazienti adulti con malattia da agglutinine fredde (CAD)

L04AJ04 SUTIMLIMAB – ev, H OSP, REGISTRO WEB BASED AIFA.

INDICAZIONE TERAPEUTICA: "trattamento dell'anemia emolitica in pazienti adulti con malattia da agglutinine fredde (CAD)".

INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA SSN: "trattamento dell'anemia emolitica di grado da moderato a grave (Hb ≤ 10 g/dl) in pazienti adulti affetti da CAD primaria unfit, non-responder o ricaduti dopo un precedente trattamento con rituximab".

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato e discusso i dati di efficacia e sicurezza di sutimlimab, ha espresso parere favorevole al suo **inserimento in PTR**.

Il numero massimo di pazienti atteso, considerata l'epidemiologia della CAD, il tasso atteso di risposta a rituximab ed i criteri di eleggibilità al trattamento con sutimlimab in regime SSN è di circa 5 pazienti in Regione Emilia-Romagna.

Attualmente risultano in trattamento, in quanto avviati nell'ambito di uso compassionevole 4 pazienti.

La CRF ritiene, al momento, di **aprire il Registro web based AIFA del farmaco all'area clinica ematologia per i Centri delle Aziende Sanitarie che hanno già avviato al trattamento tali pazienti**, ai fini di garantire la prosecuzione della terapia che dovrà avvenire previa rivalutazione della risposta clinica.

La CRF ritiene, inoltre, opportuna l'**istituzione di un Gruppo di Lavoro sulle terapie ematologiche non oncologiche**, al fine di:

- valutare i dati di efficacia e sicurezza disponibili per i nuovi farmaci che sono/saranno rimborsati SSN in tale ambito, e definirne il posto in terapia, anche rispetto alle alternative disponibili;
- individuare gli strumenti di monitoraggio dell'appropriatezza di utilizzo;
- definire il numero di pazienti atteso, anche al fine della allocazione delle risorse necessarie;
- formulare una proposta di modello organizzativo per la presa in carico dei pazienti da trattare.

2.4. Dupilumab nel trattamento dell'esofagite eosinofila

D11AH05 DUPILUMAB – sc, A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: gastroenterologo, internista), PIANO TERAPEUTICO CARTACEO AIFA.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA: "trattamento dell'esofagite eosinofila in adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore ad 1 anno, con un peso di almeno 15 kg, non adeguatamente controllati da, intolleranti a, o che non sono candidati per la terapia farmacologica convenzionale".

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA SSN: "trattamento dell'esofagite eosinofila in adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni, con un peso di almeno 40 kg, non adeguatamente controllati da, intolleranti a, o che non sono candidati per la terapia farmacologica convenzionale, inclusa la budesonide autorizzata per la medesima indicazione, secondo le modalità previste dai singoli RCP".

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato e discusso i dati di efficacia e sicurezza di dupilumab per questa nuova indicazione, ha espresso **parere favorevole al suo inserimento in PTR.**

L'Esofagite Eosinofila è una malattia immunomediata causata da una infiammazione cronica, progressiva dell'esofago, abbastanza frequentemente associata a malattie allergiche, tra cui asma, rinite allergica, dermatite atopica e manifestazioni di allergie alimentari. La malattia ha impatto sulla qualità di vita e comporta il rischio di complicazioni a lungo termine come fibrosi esofagea, occlusione alimentare, necessità di manovre di dilatazione esofagea e, molto raramente, perforazione dell'esofago.

Ha una incidenza stimata di 6-13 nuovi casi/anno ogni 100.000 abitanti e una prevalenza di 40-56 casi ogni 100.000 abitanti. La principale Consensus europea di riferimento per la diagnosi ed il trattamento dell'esofagite eosinofila risale al 2017 [Lucendo AJ et al 2017], pone una raccomandazione positiva forte per i farmaci inibitori della pompa protonica e per gli steroidi orodispersibili come prima linea di trattamento per l'induzione ed il mantenimento della remissione clinica e istologica; la loro efficacia deve essere valutata clinicamente ed endoscopicamente a 6-12 settimane dall'inizio del trattamento. Non riporta, invece, alcuna raccomandazione sull'uso degli anticorpi monoclonali, in quanto antecedente alla loro approvazione per questa indicazione.

Una LG più recente (2022) congiunta della British Society of Gastroenterology, British Society of Pediatric Gastroenterology, Haepatology and Nutrition [Dhar et al. 2022], elaborata con metodo GRADE, riporta una raccomandazione positiva debole (basata su prove di qualità bassa, rapporto beneficio/rischio favorevole) rispetto all'uso degli anticorpi monoclonali – tra cui dupilumab - nel trattamento della esofagite eosinofila.

La prescrizione deve avvenire da parte delle UU.OO./Ambulatori ospedalieri di Gastroenterologia e Medicina Interna delle Aziende sanitarie della Regione Emilia-Romagna.

La CRF ritiene, inoltre, che al fine del monitoraggio dell'uso ottimale del farmaco, l'erogazione debba essere riservata all'esclusiva Distribuzione diretta.

3.1. Acido bempedoico: analisi della prescrizione, della spesa e dell'impatto del trasferimento in DPC

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco, tenuto conto dell'analisi dei dati di prescrizione del farmaco in base ai quali risulta che:

- il 50% dei pazienti attualmente in terapia con acido bempedoico lo assume non associato a statine (monoterapia o associazione con il solo ezetimibe);
- non sono in questo momento disponibili dati di esito che indichino che i pazienti in trattamento ottengono una riduzione dei livelli di C-LDL compatibile con il proprio livello di rischio cardiovascolare;

decide di

- approfondire i dati di erogazione al fine di valutare l'appropriatezza prescrittiva del farmaco;
- mantenere il farmaco in erogazione diretta, al fine di consentire un monitoraggio più puntuale delle prescrizioni.

3.2. Acido obeticolico per la colangite biliare primitiva: conferma della revoca dell'autorizzazione all'immissione in commercio da parte della CE

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco, tenuto conto della decisione di ritiro definitivo di acido obeticolico ratificata dalla Commissione Europea decide di:

- eliminare acido obeticolico dal PTR;
- predisporre una Nota per le Aziende sanitarie per comunicare tale ritiro e chiedere che i pazienti vengano avviati a rivalutazione il prima possibile. A tal proposito, eventuali giacenze del farmaco disponibili presso le Aziende sanitarie potranno essere utilizzate per garantire la continuità terapeutica ai pazienti fino a rivalutazione del clinico di riferimento;
- predisporre un'informativa per i pazienti da consegnare da parte dei punti di Distribuzione diretta, per illustrare loro le ragioni del ritiro del farmaco dal commercio.

Verbalizzazione a cura della Segreteria Scientifica
Verbale approvato in data 23 gennaio 2025