



COMMISSIONE REGIONALE DEL FARMACO
Verbale riunione del giorno 16 maggio 2024 ore 14:30 – 18:00

La riunione si è tenuta in videoconferenza attraverso piattaforma Teams.

Presenze CRF:

Dott.ssa Anna Maria Marata	presente
Dott. Antonio Balotta	presente
Dott.ssa Maria Barbagallo	presente
Dott. Giovanni Maria Centenaro	presente
Dott.ssa Rossana De Palma	presente dalle 16:50
Dott. Carlo Descovich	presente
Dott.ssa Rosaria Di Lorenzo	assente g.
Dott. Nicola Cosimo Facciolongo	presente
Dott. Marco Fusconi	presente
Dott. Marcello Galvani	assente g.
Dott. Giuseppe Longo	presente
Dott.ssa Marcora Mandreoli	presente
Dott. Giorgio Mazzi	presente
Dott. Alessandro Navazio	assente g.
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. Denis Savini	presente
Dott.ssa Alessandra Sforza	presente
Dott. Stefano Tamberi	assente g.
Prof.ssa Valeria Tugnoli	presente
Prof. Pierluigi Viale	presente dalle 16:30

Presenze Segreteria Scientifica:

Dott.ssa Roberta Gioldini, Dott.ssa Lucia Magnano, Dott.ssa Elisabetta Pasi, Dott.ssa Anna Maria Potenza.

Hanno partecipato in qualità di uditori: il Dott. Andrea Marchi, la Dott.ssa Marta Morotti, la Dott.ssa Ester Sapigni, la Dott.ssa Margherita Selleri e la Dott.ssa Julia Szyszko.

Ha partecipato, inoltre, il Dott. Matteo Volta in riferimento alla discussione dei farmaci con indicazione nel trattamento di malattie rare.

1.1. Tematiche di carattere generale

Non sono state discusse tematiche di carattere generale.

2.1. Berotralstat per la prevenzione di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario

B06AC06 BEROTRALSTAT – os, A RRL (prescrizione di medici specialisti allergologi, internisti esperti della patologia Angioedema Ereditario afferenti ai Centri di Riferimento riconosciuti dalle Regioni e Province autonome.), PHT, PIANO TERAPEUTICO CARTACEO AIFA.

INDICAZIONE TERAPEUTICA: “prevenzione di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (AEE) in pazienti adulti e adolescenti a partire dai 12 anni di età”.

INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA SSN: “prevenzione di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (AEE) in pazienti adulti e adolescenti a partire dai 12 anni di età intolleranti, che presentano controindicazioni o che risultano insufficientemente protetti dai trattamenti di prevenzione con danazolo (definibili come soggetti che necessitano da almeno 3 mesi di 4 o più trattamenti in acuto al mese)”.

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco ha valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per berotralstat nella profilassi di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (AEE) in pazienti adulti e adolescenti a partire dai 12 anni di età. Il farmaco è approvato e rimborsato per l'uso nella “prevenzione di routine nei pazienti adolescenti (età ≥ 12 anni) e adulti intolleranti, che presentano controindicazioni o che risultano insufficientemente protetti dai trattamenti di prevenzione con danazolo (definibili come soggetti che necessitano da almeno 3 mesi di 4 o più trattamenti in acuto al mese) ed è classificato in classe A RRL (prescrizione di specialisti allergologi, internisti esperti della patologia Angioedema Ereditario afferenti ai Centri di Riferimento riconosciuti dalle Regioni e Province autonome), PHT, Piano terapeutico cartaceo AIFA. La CRF ha espresso **parere favorevole all'inserimento del farmaco in PTR. La sua prescrizione da parte dei Centri individuati per la diagnosi, trattamento e follow up dell'AEE individuati dalla Regione Emilia-Romagna deve avvenire mediante il Piano terapeutico cartaceo, in accordo con i criteri di eleggibilità definiti da AIFA.**

2.2. Estratto secco di corteccia di betulla in gel nel trattamento di lesioni associate a epidermolisi bollosa (EB) distrofica e giunzionale

D03AX13 BETULLA CORTECCIA (gel cutaneo) – loc, H RRL (prescrizione dei Centri di Riferimento individuati dalle Regioni e Province autonome per la diagnosi, trattamento e follow up dell'epidermolisi bollosa), REGISTRO WEB BASED AIFA.

INDICAZIONE TERAPEUTICA: “trattamento di lesioni a spessore parziale associate a epidermolisi bollosa (EB) distrofica e giunzionale nei pazienti di età pari o superiore a 6 mesi”.

INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA SSN: “trattamento di lesioni a spessore parziale associate a epidermolisi bollosa distrofica nella forma recessiva (RDEB) nei pazienti di età pari o superiore a 6 mesi”.

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco ha valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per il gel a base di estratto secco di corteccia di Betulla per l'uso nell'indicazione approvata e rimborsata SSN “trattamento di lesioni a spessore parziale associate a epidermolisi bollosa distrofica nella forma recessiva (RDEB) nei pazienti di età pari o superiore a 6 mesi”. Il farmaco è classificato in classe H RRL, con prescrizione mediante Registro web based AIFA (G.U. n. 63 del 15.03.2024).

La CRF ha espresso **parere favorevole al suo inserimento in PTR. La prescrizione da parte dei Centri individuati nell'ambito della Rete Malattie rare per la diagnosi, trattamento e follow up dell'epidermolisi bollosa ereditaria deve avvenire mediante il Registro web based in accordo con i criteri di eleggibilità definiti da AIFA.**

La CRF chiede che, al fine di una migliore programmazione dei trattamenti e delle risorse da allocare, l'Area Governo del Farmaco e dei DM ed il Coordinamento della Rete malattie rare, si confrontino con i Centri rispetto alla casistica dei pazienti da loro seguiti candidati al trattamento.

2.3. Avalglucosidasi alfa per la terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine della malattia di Pompe

A16AB22 AVALGLUCOSIDASI ALFA – ev, H RR.

INDICAZIONE TERAPEUTICA: “terapia enzimatica sostitutiva (enzyme replacement therapy, ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di α -glucosidasi acida)”.

DECISIONE DELLA CRF

La CRF ha valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per avalglucosidasi alfa come terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe. Avalglucosidasi alfa è classificato in classe H RR (G.U. n. 19 del 24.01.2024).

La CRF ha espresso **parere favorevole al suo inserimento in PTR. Il farmaco deve essere prescritto dai Centri che nell'ambito della Rete Malattie rare sono individuati per la diagnosi, trattamento e follow up della malattia di Pompe.**

2.4 Posaconazolo per le infezioni fungine refrattarie

J02AC04 POSACONAZOLO (comprese) – os, A RNRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: internista, infettivologo e ematologo), PHT.

NUOVE INDICAZIONI TERAPEUTICHE:

“trattamento delle seguenti infezioni fungine negli adulti: Aspergillosi invasiva.

trattamento delle seguenti infezioni fungine nei pazienti pediatrici da 2 anni di età con peso superiore a 40 kg:

- **Aspergillosi invasiva nei pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B o ad itraconazolo o nei pazienti intolleranti a questi medicinali;**
- **Fusariosi nei pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B o nei pazienti intolleranti ad amfotericina B;**
- **Cromoblastomicosi e micetoma nei pazienti con malattia refrattaria a itraconazolo o nei pazienti intolleranti ad itraconazolo;**
- **Coccidioidomicosi nei pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B, itraconazolo o fluconazolo o nei pazienti intolleranti a questi medicinali.**

La refrattarietà è definita come progressione dell'infezione o assenza di miglioramento dopo un trattamento minimo di 7 giorni precedenti con dosi terapeutiche di una terapia antifungina efficace.

Le compresse gastroresistenti di posaconazolo sono indicate anche nella profilassi delle infezioni fungine invasive nei seguenti pazienti pediatrici da 2 anni di età con peso superiore a 40 kg:

- **Pazienti in chemioterapia per induzione della remissione di leucemia mieloblastica acuta (AML) o sindromi mielodisplastiche (MDS) per le quali si prevede una neutropenia prolungata e che sono ad alto rischio di sviluppare infezioni fungine invasive;**
- **Soggetti sottoposti a trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT) in terapia immunosoppressiva ad alto dosaggio per malattia del trapianto contro l'ospite e che sono ad alto rischio di sviluppare infezioni fungine invasive”.**

DECISIONE DELLA CRF

La CRF ha preso in esame le prove di efficacia e sicurezza disponibili per posaconazolo per la nuova indicazione nel trattamento delle aspergillosi invasive nei pazienti adulti e per le estensioni al trattamento di infezioni fungine nei bambini a partire dai 2 anni di età e peso >40 kg. Il farmaco è classificato in classe ARNRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: internista, infettivologo e ematologo), PHT (G.U. n. 167 del 19.07.2023).

La CRF ha espresso **parere favorevole all’inserimento in PTR delle estensioni di indicazioni di posaconazolo, in ambito pediatrico e nell’adulto.**

La CRF ha osservato che, comunque, nella attuale pratica clinica il ruolo principale del farmaco è rappresentato dalla profilassi delle infezioni fungine invasive.

2.5 Glicopirronio nel trattamento sintomatico della scialorrea grave in bambini e adolescenti con patologie neurologiche croniche

A03AB02 GLICOPIRRONIO BROMURO – os, A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: pediatra, neurologo, neuropsichiatra infantile), PHT.

INDICAZIONE TERAPEUTICA: “trattamento sintomatico della scialorrea severa (ipersalivazione patologica cronica) in bambini e adolescenti di età pari o superiore a 3 anni con patologie neurologiche croniche”.

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco ha preso in esame le prove di efficacia e sicurezza disponibili per la soluzione orale di glicopirronio bromuro per l’indicazione nel trattamento sintomatico della scialorrea severa (ipersalivazione patologica cronica) in bambini e adolescenti di età pari o superiore a 3 anni con patologie neurologiche croniche. Il farmaco è classificato in classe A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: pediatra, neurologo, neuropsichiatra infantile), PHT (G.U. n. 98 del 27.04.2024).

Gli anticolinergici (essenzialmente i principi attivi scopolamina e glicopirrolato) sono da tempo in uso per il trattamento della scialorrea grave associata a patologie neurologiche croniche, e fino alla disponibilità della specialità medicinale, avvenuta a partire da aprile 2024, la soluzione di glicopirronio bromuro è stata allestita come preparato galenico magistrale, la CRF ha deciso di mantenere l’argomento in approfondimento al fine di valutare l’opportunità di rendere disponibile anche il galenico magistrale nell’ottica di favorire quanto più possibile la compliance dei pazienti.

Chiede pertanto che il neocostituito Gruppo regionale sui farmaci galenici non oncologici approfondisca il tema delle formulazioni galeniche di glicopirronio per il trattamento della scialorrea grave.

3.1. Noretisterone acetato (Primolut-Nor®) riclassificazione in classe C

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco ha recepito la Determina con cui AIFA ha riclassificato il medicinale a base di noretisterone acetato per il trattamento dell’endometriosi in classe C RNR, a seguito della richiesta della Ditta Bayer (G.U. n. 95 del 23.04.2024). Ha comunque deciso di mantenere il farmaco in PTR, al fine di garantirne la disponibilità per l’uso clinico.

4.1. Riclassificazione dei medicinali a base di DPP4 inibitori e loro associazioni con metformina dalla classe A PHT alla classe A

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco ha recepito la Determina di riclassificazione dei medicinali a base di DPP4 inibitori e loro associazioni precostituite con metformina dalla classe A PHT alla classe A (G.U. n. 108 del 10.05.2024).

4.2. Nirsevimab nella profilassi delle infezioni respiratorie da VRS in ambito pediatrico

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco affida al Gruppo di Lavoro regionale sui farmaci per la profilassi delle infezioni da RSV la valutazione dei nuovi farmaci disponibili per la profilassi delle infezioni da virus respiratorio sinciziale nel bambino al fine della formulazione di una proposta di strategia da implementare per la imminente stagione epidemica (ottobre 2024/marzo 2025), in attesa che il Ministero della Salute fornisca indicazioni rispetto ad una strategia implementabile su tutto il territorio nazionale e alla sua inclusione all'interno del "Calendario vaccinale".

Verbalizzazione a cura della Segreteria Scientifica
Verbale approvato in data 12 agosto 2024