



COMMISSIONE REGIONALE DEL FARMACO
Verbale riunione del giorno 25 settembre 2024 ore 14:30 – 18:30

La riunione si è tenuta in modalità mista attraverso piattaforma Teams.

Presenze CRF:

Dott. Antonio Balotta	presente
Dott.ssa Maria Barbagallo	presente
Dott. Giovanni Maria Centenaro	presente
Dott.ssa Rossana De Palma	presente
Dott. Carlo Descovich	presente
Dott.ssa Rosaria Di Lorenzo	assente g.
Dott. Nicola Cosimo Facciolongo	presente
Dott. Marco Fusconi	assente g.
Dott. Marcello Galvani	presente
Dott. Giuseppe Longo	presente
Dott. Nicola Magrini	presente
Dott.ssa Marcora Mandreoli	presente
Dott. Giorgio Mazzi	presente
Dott. Alessandro Navazio	presente
Dott.ssa Giovanna Negri	assente g.
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	presente
Prof.ssa Valeria Tugnoli	presente
Prof. Pierluigi Viale	assente g.

Presenze Segreteria Scientifica:

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

Hanno partecipato, inoltre, in qualità di uditori: il Dott. Alberto Bortolami, il Dott. Giancarlo Gargano, il Prof. Federico Marchetti, il Prof. Riccardo Masetti, la Dott.ssa Ilaria Mazzetti, la Dott.ssa Marta Morotti, la Dott.ssa Roselena Nigro, il Dott. Antonio Romio, la Dott.ssa Francesca Rosini, la Dott.ssa Ester Sapigni, la Dott.ssa Margherita Selleri, la Dott.ssa Sandra Sottili, la Dott.ssa Julia Szyszko.

Ha partecipato il Dott. Matteo Volta, in qualità di referente per la Rete della Malattie rare.

1.1. Aggiornamento del Regolamento della CRF

La Commissione Regionale del Farmaco ha programmato la revisione del proprio Regolamento.

1.2. Aggiornamento rispetto all'approvvigionamento di nirsevimab ed alla strategia di profilassi delle infezioni da RSV per la stagione 2024/2025

La Commissione Regionale del Farmaco è stata informata dalla Segreteria scientifica rispetto all'esito della procedura indetta da IntercentER per l'approvvigionamento di nirsevimab e della nota ricevuta dall'Assessorato alla Sanità con cui la Ditta Sanofi ha comunicato la disponibilità del farmaco a partire dal 28 ottobre pv. Tenuto conto del fatto che tale data è molto prossima all'inizio della stagione epidemica, la Commissione ha chiesto che la DG Cura della Persona, Salute e Welfare invii alla Ditta una richiesta formale al fine di ricevere indicazioni rispetto all'effettiva disponibilità del farmaco in modo da consentire una programmazione puntuale della campagna di immunizzazione per la ormai prossima stagione epidemica.

1.3. Prospettive prossime per le terapie cellulari nel trattamento di patologie non onco-ematologiche: exagamglogene autotemcel per il trattamento di talassemia beta e drepanocitosi

La Commissione Regionale del Farmaco ha condiviso l'opportunità di attivare un Gruppo di Lavoro sulle terapie avanzate in ambito non oncoematologico al fine di valutare il posto in terapia e l'impatto organizzativo ed economico delle terapie geniche e cellulari avanzate che arriveranno. La prima in ordine di tempo, già in negoziazione della rimborsabilità SSN è rappresentata da exagamglogene autotemcel per il trattamento di talassemia beta e drepanocitosi, attesa per il primo semestre 2025.

1.4. Andexanet alfa per l'inversione della terapia anticoagulante con un inibitore diretto del fattore Xa (apixaban o rivaroxaban)

La Commissione Regionale del Farmaco ha condiviso l'opportunità di attivare un Gruppo di Lavoro regionale al fine di definire il posto in terapia di andexanet alfa per l'inversione della terapia anticoagulante con anti-Xa, anche in rapporto ai PCC.

Il farmaco è attualmente classificato in classe C OSP ed è in corso la rinegoziazione della rimborsabilità SSN.

1.5. Analisi e considerazioni sugli andamenti prescrittivi e di spesa per i farmaci

E' stato presentato l'andamento della spesa farmaceutica, aggiornato ad agosto 2024. In particolare, sono state approfondite le principali classi di farmaci che hanno contribuito a determinare la spesa ospedaliera nei primi 8 mesi 2024 e ne è stato raffrontato l'andamento con lo stesso periodo del 2023.

2.1. GreFO: aggiornamenti rispetto agli argomenti in valutazione

TUMORE DEL POLMONE NON A PICCOLE CELLULE (NON-SMALL CELL LUNG CANCER, NSCLC), LOCALMENTE AVANZATO O METASTATICO

L01FF06 CEMIPIMAB – EV, H-OSP, Registro WEB AIFA.

INDICAZIONE TERAPEUTICA: "in associazione a chemioterapia a base di platino è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con NSCLC che esprimono PD-L1 (in $\geq 1\%$ delle cellule tumorali), senza aberrazioni di EGFR, ALK o ROS1, che presentano:

- NSCLC localmente avanzato che non sono candidati per la chemioradioterapia definitiva, oppure
- NSCLC metastatico".

INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA: "in associazione a chemioterapia a base di platino per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con NSCLC, localmente avanzato che non sono candidati per la chemioradioterapia definitiva, oppure metastatico, che esprimono PD-L1 (in $\geq 1\%$ e $< 50\%$ delle cellule tumorali*), senza aberrazioni di EGFR, ALK o ROS1".

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco dopo aver preso in esame le prove di efficacia e sicurezza disponibili per cemiplimab in associazione a chemioterapia a base di platino nell'indicazione rimborsata, per il "trattamento di prima linea di pazienti adulti con NSCLC, localmente avanzato che non sono candidati per la chemioradioterapia definitiva, oppure metastatico, che esprimono PD-L1 (in $\geq 1\%$ e $< 50\%$ delle cellule

tumorali*), senza aberrazioni di EGFR, ALK o ROS1” ha espresso parere favorevole all’inserimento in PTR della nuova indicazione e ha approvato le raccomandazioni formulate dal gruppo, estese a tutti i farmaci disponibili nel setting di terapia, come di seguito riportato.

Cemiplimab è classificato in fascia H-OSP. La prescrizione deve avvenire attraverso il relativo Registro web based, in accordo con i criteri di eleggibilità definiti da AIFA.

*In accordo ai criteri di eleggibilità definiti da AIFA (registro web-based).

Trattamento: cemiplimab+chemioterapia a base di platino (PD-L1 in $\geq 1\%$ e $< 50\%$ delle cellule tumorali)

Raccomandazione:

Nei pazienti adulti con tumore del polmone non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) localmente avanzato, che non sono candidabili per la chemio-radioterapia definitiva, o metastatico che esprimono PD-L1 (in $\geq 1\%$ e $< 50\%$ delle cellule tumorali*), senza aberrazioni di EGFR, ALK o ROS1, **cemiplimab** in associazione a **chemioterapia a base di platino**, in 1° linea di terapia, **potrebbe essere utilizzato**
Raccomandazione **POSITIVA DEBOLE**, formulata sulla base di evidenze considerate di qualità **MODERATA** e di un rapporto benefici/rischi **favorevole**.

Trattamento: pembrolizumab+chemioterapia a base di platino (PD-L1 $< 50\%$ delle cellule tumorali)

Raccomandazione:

Nei pazienti adulti con tumore del polmone non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) localmente avanzato, che non sono candidabili per la chemio-radioterapia definitiva, o metastatico che esprimono PD-L1 ($< 50\%$ delle cellule tumorali*), senza aberrazioni di EGFR, ALK o ROS1, **cemiplimab** in associazione a **chemioterapia a base di platino**, in 1° linea di terapia, **potrebbe essere utilizzato**
Raccomandazione **POSITIVA LDEBOLE**, formulata sulla base di evidenze considerate di qualità **MODERATA** e di un rapporto benefici/rischi **favorevole**.

*In accordo ai criteri di eleggibilità definiti da AIFA (registro web-based).

Accordo del Panel su Costo/Opportunità

Poiché ai farmaci immunoterapici, anti-PD1, pembrolizumab o cemiplimab in associazione a chemioterapia per il trattamento di prima linea del tumore polmonare non a piccole cellule (NSCLC) **metastatico**, con espressione di PD-L1 $\geq 1\%$ e $\leq 50\%$, è stata attribuita la stessa raccomandazione positiva debole, il panel concorda che, a parità di forza e verso delle raccomandazioni e **in assenza di specifiche condizioni/comorbidità**, nella scelta del trattamento si debba tener conto, per l’uso prevalente, anche del rapporto costo/opportunità.

Sono esclusi dalle valutazioni di costo/opportunità:

il setting di pazienti con NSCLC localmente avanzato che non sono candidati per la chemio-radioterapia definitiva; i pazienti con PD-L1 $<1\%$.

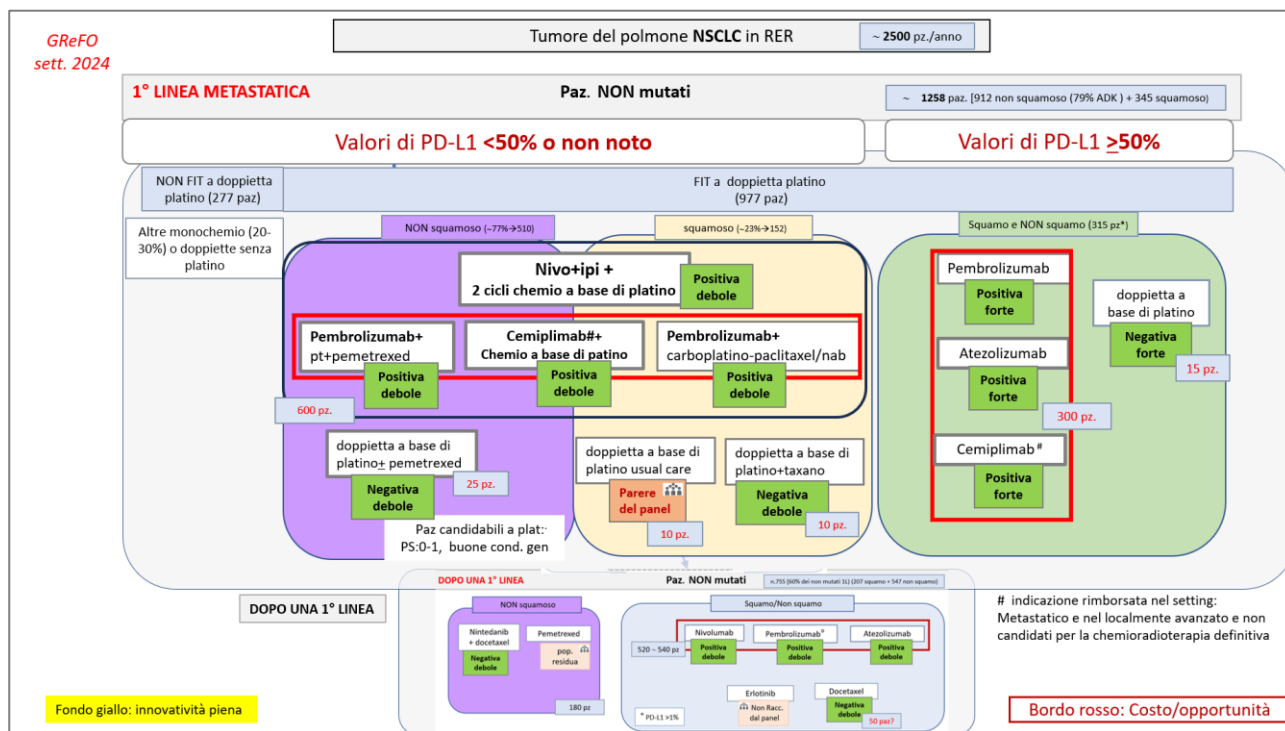


Figura 1. Flow chart per la definizione del posto in terapia dei farmaci per il trattamento del tumore del polmone non a piccole cellule (NSCLC) in stadio avanzato metastatico. Focus sul trattamento per i pazienti con espressione di PD-L1 >1% e <50% delle cellule tumorali, in 1° linea di terapia (cornice blu).

2.2. Finerenone nel trattamento dei pazienti adulti con malattia renale cronica (stadi 3 e 4 con albuminuria) associata a diabete mellito di tipo 2

C03DA05 FINERENONE – os, A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: geriatra, internista, endocrinologo, nefrologo), PHT; PIANO TERAPEUTICO WEB BASED AIFA.

INDICAZIONE TERAPEUTICA: “trattamento dei pazienti adulti con malattia renale cronica (con albuminuria) associata a diabete di tipo 2”.

INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA SSN: “trattamento dei pazienti adulti con malattia renale (stadi 3 e 4 con albuminuria) associata a diabete mellito di tipo 2, in trattamento con ACEi/ARB alla massima dose tollerata e che presentino una delle seguenti condizioni:

- 1) controindicazione o intolleranza agli inibitori SGLT2;**
- 2) comprovata evidenza di persistente albuminuria e/o rapido declino funzionale renale (perdita di eGFR ≥3 mL/min/anno), nonostante il trattamento con inibitori SGLT2”.**

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco ha preso in esame le prove di efficacia e sicurezza disponibili per finerenone per l’uso nel trattamento dei pazienti adulti con malattia renale (stadi 3 e 4 con albuminuria) associata a diabete mellito di tipo 2, in trattamento con ACEi/ARB alla massima dose tollerata e che presentino una delle seguenti condizioni:

- 1) controindicazione o intolleranza agli inibitori SGLT2;
- 2) comprovata evidenza di persistente albuminuria e/o rapido declino funzionale renale (perdita di eGFR ≥3 mL/min/anno), nonostante il trattamento con inibitori SGLT2

Il farmaco è classificato in classe A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: geriatra, internista, endocrinologo, nefrologo), PHT. E’ previsto che la prescrizione avvenga mediante Piano terapeutico web based, in accordo con i criteri di eleggibilità definiti da AIFA.

La Commissione Regionale del Farmaco ha espresso **parere favorevole all’inserimento di finerenone in PTR.** Inoltre, in coerenza con quanto deciso per dapagliflozin (Det. n. 11509 del 25.05.2023), la CRF ritiene che:

- debba essere **aperta l'area clinica "nefrologia"** sul Piano terapeutico web based AIFA di finerenone al fine di consentire agli specialisti nefrologi o con competenza nefrologica delle Aziende Sanitarie di avere accesso alla compilazione del Piano terapeutico;
- la **distribuzione diretta** rappresenti la modalità più idonea a consentire il monitoraggio della appropriatezza prescrittiva ed una adeguata ricognizione del trattamento.

2.3. Empagliflozin per il trattamento della malattia renale cronica

A10BK03 EMPAGLIFLOZIN – os, A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: cardiologo, internista, endocrinologo, geriatra e nefrologo), PHT, PIANO TERAPEUTICO WEB BASED AIFA.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA: "negli adulti per il trattamento della malattia renale cronica".

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco ha preso in esame le prove di efficacia e sicurezza disponibili per empagliflozin nel trattamento della malattia renale cronica (MRC) negli adulti.

Empagliflozin per l'uso nel trattamento della MRC è classificato in classe A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: cardiologo, internista, endocrinologo, geriatra e nefrologo), PHT. È previsto che la prescrizione avvenga attraverso un Piano terapeutico AIFA web based ad hoc per la MRC, che definisce i criteri di eleggibilità al trattamento.

La CRF ha:

- espresso **parere favorevole all'inserimento in PTR dell'estensione di indicazioni di empagliflozin al trattamento di pazienti adulti con MRC;**
- sottolineato l'importanza che la decisione di aggiungere empagliflozin alla terapia ipoglicemizzante in corso nei pazienti con diabete di tipo 2 che presentano scompenso cardiaco e/o malattia renale cronica debba essere assunta **in collaborazione con lo specialista diabetologo al fine di ottimizzare contestualmente l'intera terapia ipoglicemizzante.** La CRF considera, inoltre, fondamentale **un'adeguata anamnesi farmacologica** in occasione della prescrizione del farmaco da parte dei rispettivi specialisti al fine di evitare che empagliflozin venga associato ad un eventuale altro SGLT2 inibitore già assunto dal paziente per altra indicazione;

Inoltre, in analogia con quanto già deciso per dapagliflozin e finerenone, la CRF ha:

- definito che venga **aperta l'area clinica "nefrologia" al fine di consentire agli specialisti nefrologi o con competenza nefrologica delle Aziende Sanitarie** di avere accesso alla compilazione del Piano terapeutico web based AIFA per la MRC;
- individuato nella **distribuzione diretta** la modalità più idonea a consentire il monitoraggio dell'appropriatezza prescrittiva ed una adeguata ricognizione del trattamento. **Tale modalità distributiva è applicata a dapagliflozin ed empagliflozin limitatamente alle indicazioni d'uso nello scompenso cardiaco sintomatico e nella MRC. Restano, invece, confermate per entrambi gli SGLT2 inibitori l'attuale modalità di prescrizione e di erogazione per il trattamento dei pazienti con diabete mellito di tipo 2.**

2.4. Voclosporina nella Lupus nefrite: le valutazioni del posto in terapia del GdL sui farmaci nefrologici

L04AD03 VOCLOSPORINA – os, A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: reumatologo, immunologo, internista, nefrologo), PHT.

INDICAZIONE TERAPEUTICA: “in associazione a micofenolato mofetile, per il trattamento di pazienti adulti con nefrite lupica (NL) attiva di classe III, IV o V (comprese le classi miste III/V e IV/V)”.

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco, considerate le prove di efficacia e sicurezza disponibili per voclosporina “in associazione a micofenolato mofetile (MMF), per il trattamento di pazienti adulti con nefrite lupica (NL) attiva di classe III, IV o V (comprese le classi miste III/V e IV/V)”, ha condiviso il **posto in terapia proposto dal GdL regionale sui farmaci in nefrologia di seguito riportato e ha espresso parere favorevole all’inserimento in PTR**. Il farmaco è classificato in classe A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: reumatologo, immunologo, internista, nefrologo), PHT.

Voclosporina è un nuovo inibitore delle calcineurine (CNI) e rispetto a ciclosporina presenta alcune caratteristiche che lo rendono più maneggevole (es: minore nefrotossicità, non richiede il controllo periodico dei valori plasmatici e minori effetti collaterali).

Il GdL sui farmaci in nefrologia considerato che:

- i risultati dello studio registrativo (AURORA 1) hanno mostrato che dopo 52 settimane il trattamento con voclosporina in *add-on* al MMF + un rapido *decalage* di corticosteroidi (CS) è più efficace del solo MMF + stesso regime di CS, nell’indurre remissione completa (Δ 18%, NNT 5,6), più rapido nel ridurre del 50% la proteinuria (29 gg vs 63 gg) e per portarla < 0,5 mg/mg (169 gg vs 362 gg) in pazienti giovani con LN attiva di classe III e IV (\pm classe V) e una buona funzionalità renale eGFR (media) 92 ml/min x 1,73 m²;
- lo studio non chiarisce se voclosporina è ugualmente efficace e sicura anche nei pazienti che al baseline hanno valori di eGFR < 90 mL/min/1,73 m² e non fornisce indicazioni rispetto al valore soglia di eGFR al di sotto del quale il farmaco deve essere interrotto definitivamente;
- dopo 3 anni di trattamento, la riduzione di proteinuria viene mantenuta e il declino dell’eGFR è rallentato (studio AURORA 2);
- le LG KDIGO 2024, nelle classi III e IV (\pm classe V), nei pazienti con funzionalità renale preservata (>45 ml/min/1,73 m²), proteinuria nefrosica ed estesa fusione dei pedicelli nell’indagine istologica raccomandano un regime iniziale di terapia che comprenda l’inibitore delle CNI, in associazione a MMF e basse dosi di CS. Per le donne con gravidanza non pianificata e che necessitano di continuare la terapia immunosoppressiva raccomandano l’uso di ciclosporina o tacrolimus.

esprime le seguenti considerazioni.

- Nei/nelle pazienti con NL attiva e che, in considerazione del quadro clinico e/o morfologico, iniziano con una duplice terapia comprendente MMF e CS, l’aggiunta di voclosporina può essere considerata quando non sia stata raggiunta una remissione parziale a 3 o a 6 mesi [riduzione della proteinuria \geq 25% a 3 mesi o \geq 50% a 6 mesi e stabilizzazione/recupero dell’eGFR], se i valori di eGFR sono > 45 mL/min/1,73 m².
- Nei/nelle pazienti con NL attiva e che, in considerazione del quadro clinico e/o morfologico, necessitano di iniziare da subito una triplice terapia, possono essere utilizzati anche come 1° linea di trattamento:
 - voclosporina in associazione a micofenolato e CS, quando i valori di eGFR sono > 45 mL/min/1,73 m², in particolare nei pazienti in cui siano da evitare alcuni effetti indesiderati degli altri CNI (es. irtsutismo, ipertrofia gengivale, ipertensione grave);
 - belimumab in associazione a micofenolato o basse dosi di ciclofosfamide e CS, quando i valori di eGFR sono < 45 mL/min/1,73 m² o in pazienti poco aderenti ad una terapia orale.

2.5. Upadacitinib nel trattamento di pazienti adulti affetti da malattia di Crohn attiva da moderata a severa

L04AF03 UPADACITINIB – os, H RNRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: gastroenterologo, internista), SCHEDA DI PRESCRIZIONE CARTACEA AIFA “DEI FARMACI PER LA MALATTIA DI CROHN PER LINEE DI TRATTAMENTO SUCCESSIVE AGLI INIBITORI DEL TNF α ”.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA: “trattamento di pazienti adulti affetti da malattia di Crohn attiva da moderata a severa che hanno avuto una risposta inadeguata, hanno perso la risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o a un agente biologico”.

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del farmaco ha preso in esame le prove di efficacia e sicurezza disponibili per upadacitinib nel trattamento di pazienti adulti affetti da malattia di Crohn attiva moderata/grave. Il farmaco è classificato in classe H RNRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: gastroenterologo, internista). La prescrizione deve avvenire mediante la Scheda di prescrizione cartacea AIFA che definisce:

- l'indicazione rimborsata SSN per i farmaci per la malattia di Crohn per linee successive agli anti-TNF alfa (farmaci biologici e JAK-inibitori);
- i criteri di eleggibilità al trattamento in regime SSN per ciascuna delle due classi.

La CRF ha espresso **parere favorevole all'inserimento dell'estensione di indicazioni di upadacitinib in PTR ed ha affidato al Gruppo di lavoro sui farmaci biologici in gastroenterologia il mandato di definirne il posto in terapia.**

2.6. Terapia genica per l'emofilia A: completamento della valutazione

B02BD15 VALOCTOGENE ROXAPARVOVEC – ev, H OSP, REGISTRO WEB BASED AIFA. AIFA ha attribuito al farmaco l'INNOVATIVITA' CONDIZIONATA.

INDICAZIONE TERAPEUTICA: “trattamento dell'emofilia A grave (deficit congenito di fattore VIII) in pazienti adulti senza anamnesi di inibitori del fattore VIII e senza anticorpi rilevabili anti-virus adeno-associato del sierotipo 5 (AAV5)”.

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco ha preso in esame le prove di efficacia e sicurezza di valoctogene roxaparvovec per il trattamento dell'emofilia A grave nella riunione del 15 febbraio 2024 ed ha ritenuto di inserire il farmaco in PTR una volta definito il modello per la gestione della terapia, chiedendo a tal fine il supporto del Coordinamento della Rete delle Malattie rare del Settore Assistenza Ospedaliera (vedi verbale disponibile al link:

https://salute.regione.emilia-romagna.it/ssr/strumenti-e-informazioni/ptr/archivio/verbali-commissione-regionale-farmaco/verbale-crf_15-febbraio-2024-approvato.pdf .

Nella riunione odierna, a conclusione del percorso avviato dal Coordinamento della Rete della Malattie rare insieme al Gruppo di Lavoro MEC, la CRF ha **approvato:**

- **il documento: “Informativa sulla terapia genica” per il paziente**
- **il documento “Valutazione della salute epatica per il paziente candidato a trattamento con valoctocogene roxaparvovec”, prodotti dal GdL MEC.**

Valoctogene roxaparvovec viene inserito in PTR.

Si specifica che d'intesa con il Responsabile del Settore Assistenza Ospedaliera ai fini della **selezione dei pazienti candidati alla terapia genica, del trattamento e del successivo follow up sono individuati tutti e tre i Centri MEC della Regione Emilia-Romagna.**

2.7. Emicizumab per l'emofilia A moderata con elevato rischio emorragico

B02BX06 EMICIZUMAB – sc, A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: ematologo, internista), PHT, PIANO TERAPEUTICO CARTACEO AIFA.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA: “profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia A (deficit congenito del fattore VIII) senza inibitori del fattore VIII che presentano malattia moderata (FVIII \geq 1% e \leq 5%) con fenotipo emorragico severo. Può essere usato in tutte le fasce d'età”.

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco ha preso in esame le prove di efficacia e sicurezza disponibili per emicizumab nella profilassi di routine degli episodi emorragici nei pazienti con emofilia A senza inibitori del FVIII che presentano malattia moderata (FVIII \geq 1% e \leq 5%) con fenotipo emorragico grave.

Il farmaco è classificato in classe A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: ematologo, internista), PHT. Contestualmente alla negoziazione dell'indicazione nell'emofilia A moderata, AIFA ha:

- abolito il Registro web based precedentemente istituito per la prescrizione del farmaco ai pazienti con emofilia A grave con inibitori del FVIII;
- predisposto un Piano terapeutico cartaceo per la prescrizione di emicizumab nei pazienti con emofilia A grave (con o senza inibitori del FVIII) e nei pazienti con emofilia A moderata. Il Piano terapeutico definisce i criteri di eleggibilità al trattamento in regime SSN (G.U. n. 195 del 21.08.2024 e G.U. n. 219 del 18.09.2024)

La CRF ha espresso **parere favorevole all'inserimento in PTR della nuova indicazione terapeutica di emicizumab.**

Tenuto conto del fatto che la Cartella emofilia attualmente prevede la possibilità di produrre un Piano terapeutico informatizzato per la prescrizione dei farmaci, d'intesa con i Centri MEC della RER e con il Coordinamento della Rete delle Malattie rare del Settore Assistenza Ospedaliera, ritiene **di informatizzare la prescrizione di emicizumab attraverso la Cartella emofilia, in modo da consentire il monitoraggio dell'uso del farmaco nelle diverse indicazioni attualmente rimborsate SSN.**

2.8. Pegunigalsidasi alfa per il trattamento della Malattia di Fabry

A16AB20 PEGUNIGALSIDASI ALFA – ev, H RR.

INDICAZIONE TERAPEUTICA: “terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti adulti con diagnosi confermata di malattia di Fabry (deficit di alfa-galattosidasi)”.

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco, considerati:

- l'approvazione di EMA sulla base di una valutazione del rapporto beneficio/rischio di pegunigalsidasi alfa favorevole;
- la rimborsabilità del farmaco in classe H RR, definita da AIFA (G.U. n. 169 del 20.07.2024);
- le valutazioni di EMA rispetto alla domanda di mantenimento dello status di orfano del farmaco, che non è stato confermato, in quanto l'Autorità regolatoria ha ritenuto che non fossero adeguatamente supportati i “claims” della Ditta rispetto ai benefici aggiuntivi del farmaco rispetto ad agalsidasi beta, né in termini di efficacia che di sicurezza. Ai fini della domanda, tra l'altro, la Ditta aveva presentato una modellizzazione di farmacocinetica (PK) in base alla quale la somministrazione di una dose doppia ogni 4 settimane garantirebbe un profilo di PK simile a quella ottenuta somministrando 1 mg/kg ogni 2 settimane. Tuttavia, l'attuale RCP del farmaco non prevede la posologia 2 mg/kg ogni 4 settimane;
- il costo della terapia favorevole;

ha ritenuto di **inserire pegunigalsidasi in PTR** e di prevedere **l'approfondimento del ruolo in terapia** del farmaco per la prima riunione utile, anche avvalendosi del parere degli specialisti di riferimento per il trattamento della Malattia di Fabry.

Verbalizzazione a cura della Segreteria Scientifica
Verbale approvato in data 25 ottobre 2024