AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 8 ottobre 2019

Modifica del provvedimento della Commissione unica del farmaco del 30 dicembre 1999, relativo all'inserimento del medicinale epoetina alfa (Eprex) nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, per la terapia delle sindromi mielodisplastiche. (Determina n. 111773/2019) (19A06491)

(GU n.246 del 19-10-2019)

IL DIRIGENTE
dell'area pre-autorizzazione

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, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326, che istituisce l'Agenzia italiana del farmaco (AIFA);

Visto il decreto del Ministro della salute, di concerto con il Ministro della funzione pubblica e il Ministro dell'economia e delle finanze, 20 settembre 2004, n. 245, e successive modificazioni, recante norme sull'organizzazione e il funzionamento AIFA;

Visto il regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell'ordinamento del personale dell'AIFA, adottato dal Consiglio di amministrazione con deliberazione 8 aprile 2016, n. 12;

Visto il decreto del Ministro della salute del 27 settembre 2018, registrato ai sensi dell'art. 5, comma 2, del decreto legislativo 30 giugno 2011, n. 123, dall'Ufficio centrale del bilancio presso il Ministero della salute in data 4 ottobre 2018, al n. 1011, con cui il dott. Luca Li Bassi e' stato nominato direttore generale dell'AIFA e il relativo contratto individuale di lavoro con decorrenza 17 ottobre 2018, data di effettiva assunzione delle funzioni;

Vista la determina direttoriale n. 1792 del 13 novembre 2018, con cui la dott.ssa Sandra Petraglia, dirigente dell'Area pre-autorizzazione, e' stata delegata dal direttore generale all'adozione dei provvedimenti di autorizzazione della spesa di farmaci orfani per malattie rare e di farmaci che rappresentano una speranza di cura, in attesa della commercializzazione, per particolari e gravi patologie, nei limiti della disponibilita' del «Fondo del 5%», di cui all'art. 48, commi 18 e 19, lettera a) del decreto-legge n. 269/2003, convertito con modificazioni dalla legge n. 326/2003 e dei provvedimenti per l'aggiornamento dell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale, ai sensi della legge n. 648/1996;

Visto il decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito, con modificazioni, dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648, relativo alle misure per il contenimento della spesa farmaceutica e la determinazione del tetto di spesa per l'anno 1996 e, in particolare, l'art. 1, comma 4, che dispone l'erogazione a totale carico del Servizio sanitario nazionale per i medicinali innovativi la cui commercializzazione e' 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 un'indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata;

Visto il provvedimento della Commissione unica del farmaco (CUF),

del 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 erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648;

Visto il provvedimento CUF del 31 gennaio 2001, concernente il monitoraggio clinico dei medicinali inseriti nel succitato elenco, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale del 24 marzo 2001, n. 70;

Visto il provvedimento CUF del 30 dicembre 1999, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale n. 58 del 10 marzo 2000, relativo all'inserimento dell'«Epoetina alfa (Eprex)» nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale, istituito ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, per la terapia delle sindromi mielodisplastiche (MDS), anemia refrattaria (AR), con siderablasti (RARS) e senza sideroblasti (RA);

Visto il decreto del Ministro della salute 28 settembre 2004 che ha costituito la Commissione consultiva tecnico-scientifica (CTS) dell'AIFA;

Vista la determina AIFA n. 594 del 2 aprile 2019, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale n. 94 del 20 aprile 2019, con la quale e' stato definito il regime di rimborsabilita' e prezzo del medicinale «Eprex» per la nuova indicazione di seguito riportata:

«trattamento dell'anemia sintomatica (concentrazione di emoglobina ≤10 g/dl) in adulti con sindromi mielodisplastiche (MDS) primarie a rischio basso o intermedio 1 e con bassa eritropoietina sierica (<200 mU/ml)»;

Considerato che la nuova indicazione terapeutica autorizzata del medicinale «Eprex» sopra citata non include le seguenti sottopopolazioni di pazienti affetti da mielodisplasia:

pazienti adulti con IPSS > intermedio 1;

pazienti con valori di eritropoietina > 200 mUI/ml indipendentemente da IPSS;

pazienti < 18 anni indipendentemente da IPSS;

Ritenuto opportuno mantenere la prescrizione di detto medicinale a totale carico del Servizio sanitario nazionale solo per le suddette sottopopolazioni di pazienti affetti da sindrome mielodisplastica;

Tenuto conto del parere reso dalla CTS dell'AIFA nelle riunioni dell'11, 12 e 13 settembre 2019 - stralcio verbale n. 13;

Determina:

Art. 1

Il provvedimento CUF del 30 dicembre 1999 citato in premessa e' modificato con l'esclusione del medicinale «Epoetina Alfa (Eprex)» per le indicazioni terapeutiche in esso contenute.

Art. 2

Il medicinale «Epoetina alfa (Eprex)» 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, per le indicazioni terapeutiche di cui all'art. 3, comma 1.

Art. 3

1. Il medicinale di cui all'art. 2 e' erogabile a totale carico del Servizio sanitario nazionale per il trattamento della sindrome mielodisplastica, nel rispetto delle condizioni per esso indicate nell'allegato 1 che fa parte integrante della presente determina.

2. Ai fini della consultazione delle liste dei farmaci a totale carico del Servizio sanitario nazionale, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, si rimanda agli elenchi pubblicati sul sito istituzionale dell'AIFA www.aifa.gov.it

Art. 4

La presente determina ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana.

Roma, 8 ottobre 2019

Il dirigente: Petraglia

Allegato 1

Denominazione: EPOETINA ALFA (EPREX).
Indicazione terapeutica: sindrome mielodisplastica.
Criteri di inclusione:
mielodisplasia in pazienti adulti con IPSS > intermedio 1;
mielodisplasia con valori di eritropoietina > 200 mUI/ml indipendentemente da IPSS;
mielodisplasia indipendentemente da IPSS in pazienti < 18 anni.
Criteri di esclusione:
precedenti episodi di Pure Red Cell Aplasia (PRCA) dopo trattamento con eritropoietina;
pregresse reazioni cutanee severe dopo trattamento con eritropoietina;
ipersensibilita' nota al principio attivo o ad uno degli eccipienti;
ipertensione arteriosa non controllata.
Periodo di prescrizione a totale carico del Servizio sanitario nazionale: fino a nuova determina dell'Agenzia italiana del farmaco.
Piano terapeutico:
dose e schema terapeutico:
dose 450 UI/Kg s.c. ogni 7 giorni (dose massima 40000 UI/7 giorni) aumentabile fino a 40000 UI x 2/7 giorni per mantenere un livello di Hb > 10 g/dl.
Durata del trattamento:
fino a che il paziente ne trae beneficio, cioe':
1) indipendenza trasfusionale entro le 8-12 settimane con la dose massima di 80000 UI/settimana o comparsa di effetti collaterali non accettabili;
2) ottenimento di un valore di Hb > 10 g/dl alla 24 settimana con la dose massima di 80000 UI/settimana o comparsa di effetti collaterali non accettabili.
La somministrazione del medicinale per le pazienti in gravidanza e allattamento puo' essere effettuata dopo attenta valutazione del rapporto rischio/beneficio.
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

Nel corso del trattamento con «Epoetina alfa (Eprex)» devono essere monitorati:
valori di emoglobina pre-terapia e all'ottava, dodicesima e ventiquattresima settimana di terapia con eritropoietina in assenza di supporto trasfusionale;
eventuale insorgenza di fenomeni tromboembolici vascolari (TEV) arteriosi e venosi in corso di terapia con eritropoietina.