

Gentile Dottore,

il Bollettino Novità Regolatorie che riceve ha lo scopo di fornirle alcune delle più importanti informazioni sulle discipline regolatorie del farmaco (es. nuove immissioni in commercio, modifica dell'autorizzazione, avvio o chiusura registri di monitoraggio) provenienti sia dall'Autorità Competente nazionale (AIFA) ma anche dall'Assessorato regionale della Salute che emana periodicamente disposizioni relative all'impiego dei medicinali sul territorio siciliano.

La continua evoluzione della normativa relativa alle modalità di utilizzo e prescrizione dei farmaci impone, infatti, sempre maggiore attenzione da parte dei medici al rispetto delle direttive che definiscono la prescrivibilità dei medicinali, che non sempre si traduce in un'automatica rimborsabilità a carico del SSN.

Le ricordiamo, a tal proposito, che l'appropriatezza prescrittiva non può prescindere dalla conoscenza degli aggiornamenti regolatori dei medicinali, tenuto conto che una prescrizione farmacologica può essere considerata appropriata se effettuata all'interno delle indicazioni cliniche e modalità di utilizzo (dose, durata del trattamento, via di somministrazione) approvate da un'Autorità Regolatoria sulla base di un dimostrato profilo beneficio/rischio favorevole.

In questo numero...

- Farmaci innovativi: AIFA pubblica l'aggiornamento di gennaio 2024..... 2
- Prescrizione off-label del medicinale ibrutinib..... 2
- AIFA pubblica il monitoraggio delle estensioni di indicazione e posologia approvate da EMA..... 3
- Attivazione del Registro di Monitoraggio di Forxiga® (dapaglofozin)..... 3
- Attivazione del Registro di Monitoraggio per l'associazione Imbruvica® (ibrutinib)/venetoclax..... 4
- Attivazione del Registro di Monitoraggio di Imcivree® (setmelamotide)..... 4
- Focus Regione Sicilia..... 5
- Aggiornamento n. 88 del PTORS..... 5



Questo numero è stato elaborato dal Centro Regionale di Farmacovigilanza
AOU Policlinico "G. Rodolico - San Marco"

Prof. Filippo Drago (Direttore)
Lucia Gozzo (Dirigente Medico)
Laura Longo (Dirigente Farmacista)
Daniela C. Vitale (Dirigente Farmacista)

Farmaci innovativi: AIFA pubblica l'aggiornamento di gennaio 2024

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha aggiornato l'elenco dei medicinali che, a giudizio della Commissione Tecnico-Scientifica, possiedono il requisito di innovatività terapeutica piena o condizionata.

L'aggiornamento include un solo farmaco a cui è stato riconosciuto il requisito d'innovatività terapeutica condizionata:

·Roctavian® (valoctocogene roxaparvovec), indicato per il 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). Inoltre, è stato pubblicato il report relativo all'esito negativo nella valutazione ai fini dell'innovatività per il medicinale Koselugo® (selumetinib), per il trattamento in monoterapia del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatriche con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai 3 anni di età.

Maggiori informazioni sono disponibili ai seguenti link:

<https://www.aifa.gov.it/-/elenco-dei-farmaci-innovativi-aifa-pubblica-l-aggiornamento-di-gennaio-2024>

<https://www.aifa.gov.it/farmaci-innovativi>

Prescrizione off-label del medicinale ibrutinib

Con G.U. n. 302 del 29/12/2023, il medicinale ibrutinib è stato escluso dagli elenchi della Legge 648/96 per il trattamento dei linfomi non Hodgkin della zona marginale recidivati/refrattari (R/R MZL) dopo almeno una linea di chemio-immunoterapia con anti-CD20.

L'esclusione del farmaco è dovuta all'approvazione dell'estensione dell'indicazione terapeutica della specialità medicinale Brukinsa® (zanubrutinib) per il trattamento, in monoterapia, di pazienti adulti affetti da MZL che hanno ricevuto almeno una precedente terapia a base di anticorpi anti-CD20.

Per i pazienti in trattamento con ibrutinib, la scelta su come proseguire la terapia dovrà essere valutata dal medico curante considerando le alternative disponibili e il rapporto beneficio/rischio individuale del paziente tenendo conto, tuttavia, che per questa indicazione la prescrizione è off-label ai sensi della legge 94/98 e non può essere rimborsata dal SSN.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/prescrizione-off-label-del-medicinale-ibrutinib>

AIFA pubblica il monitoraggio delle estensioni di indicazione e posologia approvate da EMA

Il Settore HTA ed Economia del Farmaco ha definito una procedura che consente di effettuare il monitoraggio sistemico di tutte le nuove indicazioni e/o posologie approvate con procedura centralizzata per medicinali già disponibili sul mercato in regime di rimborsabilità da parte del SSN, garantendo che l'utilizzo del medicinale possa essere prescritto per la nuova indicazione/posologia, con onere a carico del SSN, solo a fronte della conclusione della procedura di contrattazione del prezzo e della correlata conferma della rimborsabilità del medicinale stesso.

Nel corso dell'anno 2022 sono state oggetto di monitoraggio un totale di 92 variazioni approvate con procedura centralizzata relative a nuove indicazioni terapeutiche e/o modifiche di posologia (74 estensioni di indicazioni, 13 variazioni di posologia e 5 nuove indicazioni a seguito dell'introduzione di una nuova confezione). Il monitoraggio ha rilevato un numero complessivo di 5 procedure per le quali l'Azienda ha espressamente dichiarato la volontà di non voler presentare domanda di rimborsabilità e prezzo per la nuova indicazione, chiedendone pertanto la non rimborsabilità da parte del SSN. L'analisi conferma che per la maggior parte delle nuove indicazioni terapeutiche/nuove posologie l'Azienda interessata sottomette la domanda di rimborsabilità e prezzo entro tempistiche ritenute accettabili, e che i casi di mancata volontà di accedere alla procedura negoziale rappresentino di fatto una minoranza sul totale delle procedure analizzate.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/aifa-pubblica-il-monitoraggio-delle-estensioni-di-indicazione-e-posologia-approvate-da-ema>

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/2205533/Monitoraggio_estensioni_indicazione-posologia_approvate_da_EMA_2022.pdf

Attivazione del Registro di Monitoraggio di Forxiga® (dapaglofozin)

A seguito della pubblicazione della Determina AIFA nella GU n. 42 del 20/02/2024, a partire dal 21/02/2024 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale Forxiga® per la seguente indicazione terapeutica:

- *Forxiga è indicato negli adulti per il trattamento dell'insufficienza cardiaca cronica sintomatica.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-forxiga-iccs->

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_80-2024_Forxiga.pdf

Attivazione del Registro di Monitoraggio per l'associazione ibrutinib/venetoclax

A seguito della pubblicazione della Determina AIFA nella GU n. 34 del 10/02/2024, a partire dal 11/02/2024 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale Imbruvica® (ibrutinib) per la seguente indicazione terapeutica:

- *trattamento di pazienti adulti con Leucemia linfatica cronica (LLC) precedentemente non trattata in associazione con venetoclax.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-imbruvica-venetolax-llc->

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_54-2024_Imbruvica.pdf

Attivazione del Registro di Monitoraggio di Imcivree® (setmelamotide)

A seguito della pubblicazione della Determina AIFA nella GU n. 29 del 05/02/2024, a partire dal 06/02/2024 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale Imcivree® (setmelanotide) per la seguente indicazione terapeutica:

- *trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati a sindrome di Bardet-Biedl (BBS), geneticamente confermata negli adulti e nei bambini di età pari o superiore ai sei anni.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-imcivree-bardet-biedl-sindrome->

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_57-2024_Imcivree.pdf

Focus Regione Sicilia

Aggiornamento n. 88 del PTORS

Con la nota prot. n. 7692 del 15/02/2024 è stato pubblicato dall'Assessorato Regionale della Salute l'aggiornamento n. 88 del PTORS.

In particolare, con il suddetto aggiornamento sono stati inseriti nel Prontuario Regionale:

- Nuovi principi attivi: glucarpidase, selumetinib, avalglucosidasi alfa, valoctocogene roxaparvovec, foslevododa+foscarbidopa, ramipril+bisoprololo, berotralstat;
- Nuove indicazioni terapeutiche per: polatuzumab vedotin, brolocizumab, cabozantinib.

Inoltre, a seguito di nuovi inserimenti/estensioni delle indicazioni, è stata effettuata l'introduzione/aggiornamento:

- del Piano Terapeutico regionale per il trattamento, in monoterapia, del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatrici con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai 3 anni di età;
- della scheda di prescrizione cartacea AIFA per la prescrizione di Orladeyo® (beroltrastat) nella prevenzione di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (HAE);
- della scheda regionale di prima prescrizione e di follow-up di acido bempedoico e dell'associazione fissa di acido bempedoico+ezetimibe;
- del Piano Terapeutico regionale per la prescrizione di farmaci per il trattamento dell'ipertensione polmonare arteriosa (IPA);
- del Piano Terapeutico regionale per il trattamento dell'ipertensione polmonare tromboembolica cronica (CTEPH).

Maggiori informazioni sono disponibili ai seguenti link:

<https://www.regione.sicilia.it/sites/default/files/2024-02/Aggiornamento%20n.%2088%20del%20PTORS.pdf>