

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...

- AIFA istituisce un tavolo con le Regioni sull'accesso e la rimborsabilità dei medicinali... 3
- AIFA pubblica il Rapporto nazionale sulle sperimentazioni cliniche dei medicinali..... 3
- AIFA pubblica l'aggiornamento dei farmaci innovativi fino al 31 dicembre 2024..... 4
- AIFA pubblica l'esito delle valutazioni delle proposte ricevute per i Bandi Ricerca Indipendente 2023..... 4
- Attivazione del registro di monitoraggio di Tibsovo® (ivosidenib)..... 4
- Attivazione del registro di monitoraggio di Strensiq® (asfotase alfa)..... 5
- Attivazione del registro di monitoraggio di Omjjara® (mometinib dicloridrato)..... 5
- Attivazione del registro di monitoraggio di Pepaxti® (melfalan flufenamide cloridrato). 5

Focus Regione Sicilia

- Aggiornamento n. 97 del PTORS..... 6

Newsletter mensile di Novità Regolatorie

<https://www.policlinicorodolicosanmarco.it/professionista/centro-di-farmacovigilanza/bollettini-di-farmacovigilanza/>

Direttore responsabile

Filippo Drago

Direttore P.I. di Farmacologia Clinica/Centro Regionale di Farmacovigilanza
AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco", Catania

Redazione

Lucia Gozzo

Dirigente Medico Centro Regionale di Farmacovigilanza
AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco", Catania

Laura Longo

Dirigente Farmacista Centro Regionale di Farmacovigilanza
AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco", Catania

Daniela C. Vitale

Dirigente Farmacista Centro Regionale di Farmacovigilanza
AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco", Catania

AIFA istituisce un tavolo con le Regioni sull'accesso e la rimborsabilità dei medicinali

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha istituito un tavolo tecnico di coordinamento con le Regioni, allo scopo di favorire un confronto sull'accesso ai farmaci e la loro rimborsabilità. Il tavolo dovrà gestire le diverse informazioni e i dati utili per le attività di *governance* a vari livelli, con l'obiettivo di implementare il controllo dell'appropriatezza prescrittiva e della spesa.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/istituito-il-tavolo-tecnico-aifa-regioni-per-un-confronto-continuativo-su-accesso-ai-farmaci-e-rimborsabilit%C3%A0>

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/1134592/Determina-DTS-7-2025_Tavolo_AIFA-Regioni.pdf

AIFA pubblica il Rapporto nazionale sulle sperimentazioni cliniche dei medicinali

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha pubblicato il 21° Rapporto Nazionale sulla Sperimentazione Clinica dei medicinali in Italia 2024 relativo alle sperimentazioni cliniche in Italia nel 2023.

Con l'applicazione del nuovo Regolamento europeo 536/2014 si è registrata una diminuzione del numero di sperimentazioni cliniche in quasi tutti gli Stati Membri dell'Unione Europea.

Le sperimentazioni cliniche valutate nel 2023 nel nostro Paese sono state 764, di cui l'80% è stato autorizzato (611), mentre solo il 4,6% ha ricevuto un diniego. Dei 611 studi autorizzati, 524 (85,8%, era l'88,7% nel 2022) sono internazionali e 87 (14,2%, era l'11,3% nel 2022) nazionali. Si assiste, dunque, a un leggero recupero delle sperimentazioni nazionali (+2,9%) pur rimanendo al di sotto del livello pre-pandemico, quando si attestavano intorno al 20%.

Le sperimentazioni profit non hanno subito un impatto importante, beneficiando probabilmente della gestione a livello nazionale con la tariffa unica e del singolo comitato etico per la valutazione degli studi multicentrici.

Per quanto riguarda, invece, le sperimentazioni no-profit, il calo è stato osservato in tutta l'Unione Europea, sebbene questa diminuzione sia stata già rilevata nel 2022.

Pur essendo il primo anno di piena implementazione del Regolamento europeo, il 2023 è stato per l'Italia un anno di transizione, con emanazione ed implementazione delle nuove norme nazionali di riordino del sistema dei comitati etici e di adeguamento amministrativo, fondamentali per una corretta applicazione del Regolamento, e pertanto, i dati sono stati influenzati dalle varie fasi di assestamento che si sono succedute.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/aifa-pubblica-il-21%C2%B0-rapporto-nazionale-sulle-sperimentazioni-cliniche-dei-medicinali>

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/241008/21-Rapporto-OsSC_2024.pdf

AIFA pubblica l'aggiornamento dei farmaci innovativi fino al 31 dicembre 2024

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

Nello specifico, l'aggiornamento include Spevigo® (spesolimab), indicato in monoterapia per il trattamento delle riacutizzazioni in pazienti adulti con psoriasi pustolosa generalizzata (generalised pustular psoriasis, GPP), per il quale è stato riconosciuto il requisito d'innovatività terapeutica condizionata.

Inoltre, è stato pubblicato il report relativo Zilbrysq® (zilucoplan), medicinale con esito negativo, indicato in aggiunta alla terapia standard per il trattamento dei pazienti adulti con miastenia gravis generalizzata (MGg) positivi agli anticorpi anti-recettore dell'acetilcolina (AChR) con gravità di malattia almeno di grado IIb alla MGFA; punteggio MG-ADL \geq 6 e presenza di almeno uno tra i seguenti criteri nonostante il trattamento standard: almeno una crisi miastenica o evento di esacerbazione importante per un anno con necessità a ricorrere a plasmaferesi o immunoglobuline; necessità di ricorrere a plasmaferesi o immunoglobuline iv a intervalli regolari; effetti collaterali non tollerabili/comorbidità che limitano o controindicano l'uso di immunosoppressori.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

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

AIFA pubblica l'esito delle valutazioni delle proposte ricevute per i Bandi Ricerca Indipendente 2023

Nell'ambito della promozione della ricerca indipendente sui farmaci per i bandi "Sequenziamento terapeutico in oncologia" e "Prevenzione secondaria nelle malattie cardio-cerebrovascolari nella medicina di genere", sono state approvate le graduatorie a conclusione delle procedure di valutazione. Ciascun *Principal Investigator* può visionare le valutazioni tramite apposito link disponibile fino al 31/03/2025.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/bandi-2023>

Attivazione del registro di monitoraggio di Tibsovo® (ivosidenib)

A seguito della pubblicazione della Determina AIFA nella GU n. 24 del 30/01/2025, a partire dal 31/01/2025 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale Tibsovo® per le seguenti indicazioni terapeutiche:

- Tibsovo®, in monoterapia, è indicato per il trattamento di pazienti adulti con colangiocarcinoma - localmente avanzato o metastatico con mutazione IDH1 R 132, precedentemente trattati con almeno una linea di terapia sistemica;
- Tibsovo®, in associazione con azacitidina, è indicato per il trattamento di pazienti adulti con nuova diagnosi di leucemia mieloide acuta (LMA) con una mutazione dell'isocitrato deidrogenasi 1 (IDH1) R132 che non sono idonei per la chemioterapia di induzione standard.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-tibsovo-cca-> <https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-tibsovo-lma-> https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_48-2025_Tibsovo.pdf

Attivazione del registro di monitoraggio di Strensiq® (asfotase alfa)

A seguito della pubblicazione della Determina AIFA nella GU n. 21 del 27/01/2025, a partire dal 28/01/2025 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale Strensiq® per la seguente indicazione terapeutica:

- *Strensiq® è indicato per la terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti affetti da ipofosfatasia ad esordio pediatrico entro i 6 mesi di età e in quei pazienti che pur avendo un esordio pediatrico più tardivo (≥6mesi di età) sono affetti in forma severa.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-strensiq_
https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_28-2025_Strensiq.pdf

Attivazione del registro di monitoraggio di Omjjara® (mometinib dicloridrato)

A seguito della pubblicazione della Determina AIFA nella GU n. 19 del 24/01/2025, a partire dal 25/01/2025 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale Omjjara® per la seguente indicazione terapeutica:

- *Omjjara® è indicato per il trattamento della splenomegalia o dei sintomi correlati alla malattia in pazienti adulti con anemia da moderata a severa che sono affetti da mielofibrosi primaria, mielofibrosi post policitemia vera o mielofibrosi post trombocitemia essenziale e che sono naïve agli inibitori della chinasi Janus (JAK) o già trattati con ruxolitinib.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-omjjara_
https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_15-2025_Omjjara.pdf

Attivazione del registro di monitoraggio di Pepaxti® (melfalan flufenamide cloridrato)

A seguito della pubblicazione della Determina AIFA nella GU n. 20 del 25/01/2025, a partire dal 26/01/2025 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale Pepaxti® per la seguente indicazione terapeutica:

- *Pepaxti è indicato, in associazione con desametasone, per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo che hanno ricevuto almeno tre linee di terapia precedenti, la cui malattia è refrattaria ad almeno un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo monoclonale antiCD38, e che hanno mostrato progressione della malattia durante o dopo l'ultima terapia. Per i pazienti sottoposti in precedenza a trapianto autologo di cellule staminali, il tempo intercorso fino alla progressione deve essere di almeno 3 anni dal trapianto.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-pepaxti_
https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_17-2025_Pepaxti.pdf

Focus regione Sicilia

Aggiornamento n. 97 del PTORS

Con la nota prot. n. 6931 del 31/01/2025 è stato pubblicato dall'Assessorato Regionale della Salute l'aggiornamento n. 97 del PTORS.

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

- *Nuovi principi attivi: aflibercept (nuovo confezionamento), cipaglicosidasi alfa, zilucoplan, sebelipasi alfa, spesolimab, riluzolo (nuova formulazione);*
- *Nuove indicazioni terapeutiche per: miglustat, selercatinib.*

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

- *della scheda di prescrizione cartacea AIFA di spesolimab (Spevigo®) per il trattamento della psoriasi pustolosa generalizzata (GPP);*
- *scheda di prima prescrizione di acido bempedoico e dell'associazione fissa di acido bempedoico + ezetimibe;*
- *della scheda di follow-up cartacea regionale di acido bempedoico e dell'associazione fissa di acido bempedoico + ezetimibe.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.regione.sicilia.it/sites/default/files/2025-01/Aggiornamento%20n.%2097%20del%20PTORS.pdf>