



Prot. n. AOO/197/2634 del 02.09.2022

Protocollazione in uscita

Trasmissione solo a mezzo email/PEC
ai sensi del D.LGS. n.82/2005

Direttori Generali

delle Aziende Sanitarie Locali

(e per il loro tramite ai

- *Direttori Sanitari;*
- *Direttori medici dei P.O.;*
- *Direttori DDS;*
- *Direttori di Farmacia Ospedaliera e Territoriale)*

Direttori Generali delle AOU e IRCCS Pubblici

(e per il loro tramite ai

- *Direttori Sanitari;*
- *Direttori medici dei P.O.;*
- *Direttori delle U.O. mediche;*
- *Direttori di Farmacia Ospedaliera)*

Rappr. Legali degli IRCCS ed Enti Ecclesiastici

(e per il loro tramite

- *Direttori Sanitari;*
- *Direttori delle U.O. mediche;*
- *Direttori di Farmacia Ospedaliera)*

Exprivia S.P.A.

Soggetto Aggregatore Regionale Innovapuglia S.p.A

Oggetto: Determinazione AIFA n. 526/2022 in merito alla riclassificazione e rimborsabilità del medicinale per uso umano Procysbi (Mercaptamina Bitartrato). Centri autorizzati alla prescrizione e dispensazione.

L'Agenda Italiana del Farmaco (AIFA), con Determinazione n. 526 del 26 luglio 2022, pubblicata nella G.U. n. 188 del 12.08.2022, che si allega, ha disposto la riclassificazione e al regime di rimborsabilità, a carico del Sistema Sanitario Nazionale (SSN) del medicinale per uso umano Procysbi (Mercaptamina Bitartrato) per il trattamento *della cistinosi nefropatica manifesta. La cisteamina riduce l'accumulo della cistina in alcune cellule (ad esempio leucociti e cellule muscolari ed epatiche) di pazienti con cistinosi nefropatica e, se il trattamento è iniziato precocemente, ritarda la comparsa dell'insufficienza renale.*



Tale medicinale è:

- classificato ai fini della rimborsabilità H;
- ai fini della fornitura, medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, da rinnovare volta per volta, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti identificati dalle regioni (RNRL.);
- soggetto a scheda di prescrizione cartacea AIFA (allegata) e in corso di implementazione sul Sistema Informativo Regionale Edotto **“Gestire Piano Terapeutico per l’indicazione rimborsata a carico del SSN: Trattamento della cistinosi nefropatica manifesta in pazienti che non abbiano risposto, dopo almeno 6 mesi di terapia, a Cystagon (Cisteamina a rilascio immediato)”**;
- inserito nel Prontuario Terapeutico Regionale nei termini previsti dalla normativa vigente (art. 10, comma 2, decreto-legge n.158/2012, convertito, con modificazioni, nella legge n. 189/2012).

La Giunta Regionale, con provvedimento n. 329/2018 *“DGR n. 1491/2017 DPCM 12 gennaio 2017 Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza di cui all’art. 1, comma 7, del d.lgs. n. 502/92 Aggiornamento della Rete dei Presidi della Rete Nazionale (PRN) e Nodi della Rete Regionale Pugliese (RERP) accreditati per le malattie rare. Modifiche e integrazioni”* ha approvato i centri preposti alla diagnosi e cura dei difetti congeniti del metabolismo e del trasporto degli aminoacidi a cui afferiscono anche le cistinosi codificata con codice di esenzione RCG040.

La Legge n. 175 del 10 novembre 2021 pubblicata in Gazzetta Ufficiale n. 283 del 27.11.2021 *“Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani”* ha disposto all’art. 5 comma 3 che i medicinali per la cura di malattie rare devono essere resi disponibili dalle regioni

Pertanto, si riportano di seguito in Tab.1, nelle more dell’adozione di apposito provvedimento dirigenziale finalizzato all’approvazione della versione aggiornata del PTR, i centri preposti al trattamento e prescrizione del medicinale in oggetto per l’indicazione autorizzata di cui alla Determina AIFA n. 526/2022.



Tab.1

CENTRI	Centro di riferimento DGR 329/2018	U.O./Serv.	Codice EDOTTO
E E Miulli Acquaviva delle F.	Neonatologia	Neonatologia	969468
AO Univ. OORR Foggia	Genetica Medica Universitaria	Servizio di Genetica Medica	968605
	Laboratorio di Genetica Medica	Servizio Laboratorio di Genetica Medica Universitaria'	968606
AO Univ. Giovanni XXIII Bari	Malattie Metaboliche	U.O. Malattie Metaboliche e Genetica Medica Pediatrica	968922
	Pediatria	U.O. Pediatria Universitaria Trambusti	098158
	Nefrologia Pediatrica	Nefrologia Pediatrica	968921

Tale ricognizione è stata effettuata in base a provvedimenti autorizzativi medio tempore emessi dalla competente Sezione Strategie e Governo dell'Offerta e Servizio Accreditamenti della Regione Puglia sul Sistema Informativo Regionale Edotto, che costituisce la base informativa di riferimento.

I Direttori Sanitari dei P.O. presso i quali insistono i Centri, di cui alla Tab.1, al fine di garantire l'appropriatezza di utilizzo di tale terapia, devono verificare che la stessa venga prescritta esclusivamente da parte dei medici **specialisti esperti nella gestione di pazienti con cistinosi nefropatica**.

La prescrizione da avviare al trattamento dovrà obbligatoriamente essere effettuata solo tramite la scheda di prescrizione cartacea AIFA, in corso di implementazione nel sistema informativo Regionale EDOTTO, e fruibile tramite la funzione "**Gestire Piano Terapeutico**", per consentire le successive fasi di erogazione e monitoraggio.

La dispensazione a domicilio del medicinale, dovrà essere effettuata da parte dei Servizi Farmaceutici Territoriali delle ASL.

Alla società Exprivia, si chiede di inserire il medicinale in oggetto nel PTR Edotto.

Al soggetto Aggregatore Regionale Innovapuglia ed all'Azienda Capofila ASL BA, ognuno per quanto di propria competenza e responsabilità, si raccomanda di procedere con urgenza ed in tempi brevi al fine di consentire l'espletamento delle procedure amministrative necessarie all'acquisto su scala regionale di tale nuovo farmaco esclusivo.



Si invita l'Azienda Sanitaria Locale BA territorialmente competente per territorio a vigilare sull'operato dell'Ente Ecclesiastico Miulli.

Il responsabile del presente procedimento è il dott. F. Colasuonno della Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa Regionale, che potrà essere contattato per eventuali ulteriori informazioni in merito all'indirizzo mail f.colasuonno@regione.puglia.it.

Distinti saluti.

Il Responsabile P.O.

Registri di Monitoraggio AIFA e Centri Prescrittori

dott. Francesco Colasuonno



Francesco
Colasuonno
02.09.2022 10:56:22
GMT+00:00

Il Dirigente di Sezione

dott. Paolo Stella



Documento firmato da:
Paolo Stella
02.09.2022 11:01:21 UTC

Il titolare dell'A.I.C. del farmaco generico/biosimilare è, altresì, responsabile del pieno rispetto di quanto disposto dall'art. 14, comma 2, del decreto legislativo n. 219/2006, che impone di non includere negli stampati quelle parti del riassunto delle caratteristiche del prodotto del medicinale di riferimento che si riferiscano a indicazioni o a dosaggi ancora coperti da brevetto al momento dell'immissione in commercio del medicinale.

Art. 5.

Disposizioni finali

La presente determina ha effetto dal giorno successivo a quello della sua pubblicazione nella *Gazzetta Ufficiale* della Repubblica italiana e sarà notificata alla società titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio del medicinale.

Roma, 26 luglio 2022

Il dirigente: TROTTA

22A04455

DETERMINA 26 luglio 2022.

Riclassificazione del medicinale per uso umano «Procysbi», ai sensi dell'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537. (Determina n. 526/2022).

IL DIRIGENTE

DEL SETTORE HTA ED ECONOMIA DEL FARMACO

Visto l'art. 48 del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, recante «Disposizioni urgenti per favorire lo sviluppo e per la correzione dell'andamento dei conti pubblici», convertito, con modificazioni, nella legge 24 novembre 2003, n. 326, che ha istituito l'Agenzia italiana del farmaco e, in particolare, il comma 33, che dispone la negoziazione del prezzo per i prodotti rimborsati dal Servizio sanitario nazionale tra Agenzia e produttori;

Visto il decreto n. 245 del 20 settembre 2004 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze, recante norme sull'organizzazione e il funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco, emanato a norma dell'art. 48, comma 13, sopra citato, come modificato dal decreto n. 53 del Ministero della salute di concerto con i Ministri per la pubblica amministrazione e la semplificazione e dell'economia e delle finanze del 29 marzo 2012;

Visto il regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell'ordinamento del personale dell'Agenzia italiana del farmaco, pubblicato sul sito istituzionale dell'Agenzia (comunicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 140 del 17 giugno 2016) (in appresso «Regolamento»);

Visto il decreto del Ministro della salute del 15 gennaio 2020, con cui il dott. Nicola Magrini è stato nominato direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco con decorrenza dal 2 marzo 2020;

Vista la determina del direttore generale n. 643 del 28 maggio 2020 con cui è stato conferito al dott. Trotta Francesco l'incarico di dirigente del Settore HTA ed economia del farmaco;

Vista la determina del direttore generale n. 1568 del 21 dicembre 2021 con cui è stata conferita al dott. Trotta Francesco la delega, ai sensi dell'art. 10, comma 2, lettera e), del decreto ministeriale 20 settembre 2004, n. 245, per la firma delle determinazioni di classificazione e prezzo dei medicinali;

Vista la legge 24 dicembre 1993, n. 537, concernente «Interventi correttivi di finanza pubblica», con particolare riferimento all'art. 8, comma 10, che prevede la classificazione dei medicinali erogabili a carico del Servizio sanitario nazionale;

Vista la legge 14 dicembre 2000, n. 376, recante «Disciplina della tutela sanitaria delle attività sportive e della lotta contro il doping»;

Visto il regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio del 16 dicembre 1999, concernente i medicinali orfani;

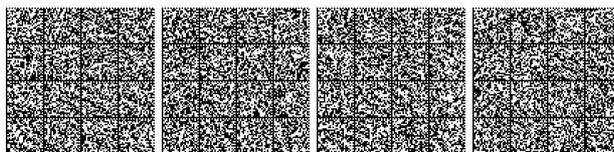
Visto il regolamento (CE) n. 1394/2007 del Parlamento europeo e del Consiglio del 13 novembre 2007 sui medicinali per terapie avanzate, recante modifica della direttiva 2001/83/CE e del regolamento (CE) n. 726/2004;

Visto il regolamento (CE) n. 726/2004 del Parlamento europeo e del Consiglio del 31 marzo 2004, che istituisce procedure comunitarie per l'autorizzazione e la vigilanza dei medicinali per uso umano e veterinario e che istituisce l'Agenzia europea per i medicinali;

Visto il decreto legislativo 24 aprile 2006, n. 219, recante «Attuazione della direttiva 2001/83/CE (e successive direttive di modifica) relativa ad un codice comunitario concernente i medicinali per uso umano»;

Vista la deliberazione CIPE del 1° febbraio 2001, n. 3;

Visto il decreto del Ministero della salute del 2 agosto 2019 recante «Criteri e modalità con cui l'Agenzia italiana del farmaco determina, mediante negoziazione, i prezzi dei farmaci rimborsati dal Servizio sanitario nazionale», pubblicato nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 185 del 24 luglio 2020;



Visti gli articoli 11 e 12 del decreto-legge 13 settembre 2012, n. 158, recante «Disposizioni urgenti per promuovere lo sviluppo del Paese mediante un più alto livello di tutela della salute», convertito, con modificazioni, nella legge 8 novembre 2012, n. 189, e successive modifiche e integrazioni;

Vista la determina AIFA del 3 luglio 2006, concernente «Elenco dei medicinali di classe a) rimborsabili dal Servizio sanitario nazionale (SSN) ai sensi dell'art. 48, comma 5, lettera c), del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, nella legge 24 novembre 2003, n. 326 (Prontuario farmaceutico nazionale 2006)», pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 156 del 7 luglio 2006;

Vista la determina AIFA del 27 settembre 2006, recante «Manovra per il governo della spesa farmaceutica convenzionata e non convenzionata», pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 227 del 29 settembre 2006;

Vista la determina AIFA n. 439/2018 del 19 marzo 2018, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 80 del 6 aprile 2018, recante «Classificazione, ai sensi dell'art. 12, comma 5, della legge 8 novembre 2012, n. 189, del medicinale per uso umano "Procysbi", approvato con procedura centralizzata»;

Vista la domanda presentata in data 14 gennaio 2021 con la quale la società Chiesi Farmaceutici S.p.a. ha chiesto la riclassificazione, ai fini della rimborsabilità del medicinale «Procysbi» (mercaptamina bitartrato);

Visto il parere espresso dalla Commissione consultiva tecnico-scientifica nella seduta del 06-09 e 12 aprile 2021;

Visto il parere reso dal Comitato prezzi e rimborso nella seduta del 20-22 aprile 2022;

Vista la delibera n. 31 del 14 luglio 2022 del consiglio di amministrazione dell'AIFA, adottata su proposta del direttore generale, concernente l'approvazione dei medicinali ai fini dell'autorizzazione all'immissione in commercio e rimborsabilità da parte del Servizio sanitario nazionale;

Visti gli atti d'ufficio;

Determina:

Art. 1.

Classificazione ai fini della rimborsabilità

Il medicinale PROCYSBI (mercaptamina bitartrato) nelle confezioni sotto indicate è classificato come segue.

Indicazioni terapeutiche oggetto della negoziazione:

«Procysbi» è indicato per il trattamento della cistinosi nefropatica manifesta. La cisteamina riduce l'accumulo della cistina in alcune cellule (ad esempio leucociti e cellule muscolari ed epatiche) di pazienti con cistinosi nefropatica e, se il trattamento è iniziato precocemente, ritarda la comparsa dell'insufficienza renale.

Confezioni:

«25 mg - capsula rigida gastroresistente - uso orale - flacone (Hdpe)» 60 capsule - A.I.C. n. 043041019/E (in base 10) - classe di rimborsabilità: H - prezzo *ex-factory* (IVA esclusa): euro 505,26 - prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 833,88;

«75 mg - capsula rigida gastroresistente - uso orale - flacone (Hdpe)» 250 capsule - A.I.C. n. 043041021/E (in base 10) - classe di rimborsabilità: H - prezzo *ex-factory* (IVA esclusa): euro 6.249,31 - prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 10.313,86.

Sconto obbligatorio sul prezzo *ex-factory*, da praticarsi alle strutture sanitarie pubbliche, ivi comprese le strutture sanitarie private accreditate con il Servizio sanitario nazionale, come da condizioni negoziali.

La società, fatte salve le disposizioni in materia di smaltimento scorte, nel rispetto dell'art. 13 del decreto-legge 30 aprile 2019, n. 35, convertito, con modificazioni, nella legge 25 giugno 2019, n. 60, si impegna a mantenere una fornitura costante adeguata al fabbisogno del Servizio sanitario nazionale.

Validità del contratto: ventiquattro mesi.

Art. 2.

Condizioni e modalità di impiego

Prescrizione del medicinale soggetta a scheda di prescrizione cartacea (AIFA/ospedaliera) come da allegato alla presente determina, che ne costituisce parte integrante e sostanziale.

Art. 3.

Classificazione ai fini della fornitura

La classificazione ai fini della fornitura del medicinale «Procysbi» (mercaptamina bitartrato) è la seguente: medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, da rinnovare volta per volta, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti identificati dalle regioni (RNRL).

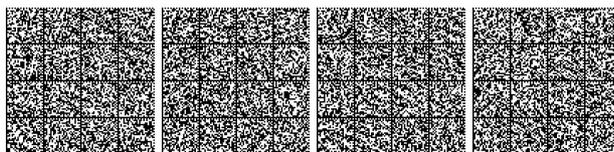
Art. 4.

Disposizioni finali

La presente determina ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella *Gazzetta Ufficiale* della Repubblica italiana e sarà notificata alla società titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Roma, 26 luglio 2022

Il dirigente: TROTTA



SCHEDA DI PRESCRIZIONE DEL MEDICINALE MERCAPTAMINA BITARTRATO (PROCYSBI®)

(Da compilare ai fini della rimborsabilità SSN a cura dei soli centri ospedalieri o degli specialisti indicati dalle Regioni)

Azienda Sanitaria: _____
Unità Operativa: _____
Nome e cognome del medico prescrittore: _____
Recapito telefonico/ e-mail: _____
Paziente (nome, cognome): _____
Data di nascita: ____ / ____ / ____ /, peso _____ Kg, altezza _____ cm
Codice Fiscale: _____
Indirizzo: _____
Recapito telefonico/e-mail: _____
ASL di Residenza: _____
Medico di Medicina Generale: _____

Indicazione terapeutica autorizzata

PROCYSBI è indicato per il trattamento della cistinosi nefropatica manifesta.

Indicazione terapeutica rimborsata

Trattamento della cistinosi nefropatica manifesta in pazienti che non abbiano risposto, dopo almeno 6 mesi di terapia, a Cystagon (cisteamina a rilascio immediato).

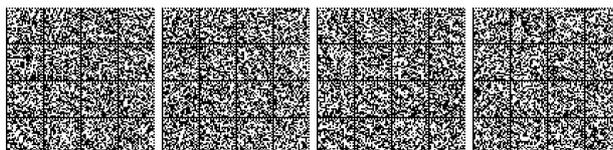
DATI CLINICI

Sezione da compilare solo in caso di prima prescrizione (verifica appropriatezza)

DIAGNOSI

CISTINOSI NEFROPATICA MANIFESTA

IL/LA PAZIENTE DEVE PRESENTARE TUTTE LE SEGUENTI CONDIZIONI



- DIAGNOSI DI CISTINOSI NEFROPATICA MANIFESTA CONFERMATO DA PARTE DI CENTRI OSPEDALIERI O SPECIALISTI INDIVIDUATI DALLE REGIONI.
- PAZIENTE NON ADEGUATAMENTE CONTROLLATO DALLA TERAPIA CON CISTEAMINA A RILASCIO IMMEDIATO, COME DIMOSTRATO DA VALORI DI CISTINA LEUCOCITARIA >2 NMOL DI EMICISTINA/MG PROTEINA, DOPO ALMENO 6 MESI DI TRATTAMENTO CON CYSTAGON.

PRESCRIZIONE PROCYSBI (MERCAPTAMINA BITARTRATO)

Passaggio a PROCYSBI di pazienti che assumono capsule rigide di cisteamina bitartrato a rilascio immediato.

I pazienti con cistinosi che assumono cisteamina bitartrato a rilascio immediato possono passare a una dose giornaliera totale di PROCYSBI identica alla loro precedente dose giornaliera totale di cisteamina bitartrato a rilascio immediato.

Nei pazienti che iniziano il trattamento con PROCYSBI si devono misurare i livelli di cistina leucocitaria entro 2 settimane e in seguito ogni 3 mesi per valutare la dose ottimale (vedere paragrafo 4.4 del RCP).

La dose giornaliera totale deve essere suddivisa in due e somministrata ogni 12 ore. La dose massima raccomandata di cisteamina è di $1,95$ g/m² /die. Non è raccomandato l'uso di dosi superiori a $1,95$ g/m² /die. Si prega di fare riferimento a quanto riportato in RCP 4.2-4.9

SCEGLIERE UNA DELLE DUE SEGUENTI OPZIONI

PRIMA PRESCRIZIONE

Specificare il dosaggio: _____ g/m²/ die

PROSECUZIONE TERAPIA

La prosecuzione della terapia è consentita solo se si è osservata, in terapia con Procysbi, una riduzione dei livelli di cistina leucocitaria di almeno 1 nmol emicistina/mg proteina rispetto ai valori riscontrati in corso di trattamento con cisteamina a rilascio immediato.

Specificare il dosaggio: _____ g/m²/ die

La validità della scheda di prescrizione è al massimo di 6 mesi

Data valutazione: ___/___/___

Timbro e firma del medico prescrittore

