



Prot. n. AOO/197/1647 del 25.05.2022

Protocollo in uscita

Trasmissione solo a mezzo email/PEC

ai sensi del D.LGS. n.82/2005

Direttori Generali

- Aziende Sanitarie Locali

(e per il loro tramite ai

- Direttori Sanitari;

- Direttori DDS;

- Direttori medici dei P.O.;

- Direttori delle U.O. interessate;

- 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. interessate;

- Direttori di Farmacia Ospedaliera)

Rappr. Legali degli IRCCS ed Enti Ecclesiastici

(e per il loro tramite

- Direttori Sanitari;

- Direttori delle U.O. interessate;

- Direttori di Farmacia Ospedaliera)

Exprivia S.P.A.

Oggetto: Determinazione AIFA n. 329/2022 in merito al regime di rimborsabilità, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche, del medicinale per uso umano Myalepta (Metreleptina). Centri autorizzati alla prescrizione e dispensazione.

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), con Determinazione n. 329 del 9 maggio 2022 pubblicata nella G.U. n. 119 del 23.05.2022, che si allega, ha disposto il regime di rimborsabilità e prezzo, a carico del Sistema Sanitario Nazionale (SSN) del medicinale per uso umano Myalepta (Metreleptina) per la nuova indicazione terapeutica:

- *in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD) con diagnosi confermata di LD parziale familiare o di LD parziale acquisita (sindrome di Barraquer Simons) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 12 anni, per i quali le terapie standard non sono riuscite a raggiungere un controllo metabolico adeguato.*



Tale medicinale è:

- classificato ai fini della rimborsabilità H;
- ai fini della fornitura, soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti-endocrinologo e pediatra (RRL);
- soggetto a scheda di prescrizione cartacea AIFA (*Scheda di prescrizione ospedaliera medicinale Myalepta (Metreleptina)*), come da scheda allegata alla determina AIFA DG n. 329/2022 e in corso di implementazione sul Sistema Informativo Regionale Edotto "Gestire Piano Terapeutico".

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 della patologia Lipodistrofia (LD) con codice di esenzione RC0080.

Pertanto, si individuano di seguito, in Tab.1, i centri autorizzati alla prescrizione del medicinale per uso umano Myalepta (Metreleptina) per l'indicazione ammessa alla rimborsabilità a carico del SSN di cui alla Determinazione AIFA n. 329/2022.

Tab.1

CENTRO	U.O. (Spec. Endocrinologo e pediatra)	CODICE. EDOTTO
AO UNIV.		
AO Univ. Policlinico Bari	Endocrinologia	964626
AO Univ. Giovanni XXIII Bari	Malattie Metaboliche	968922

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.

Il Direttore Sanitario del P.O. AOU Policlinico/Giovanni XXXIII di Bari, per quanto concerne l'abilitazione degli specialisti preposti alla prescrizione del medicinale in oggetto, che si ricorda essere riservata esclusivamente ai medici specialisti pediatri e endocrinologi esperti nella gestione dei pazienti con patologia Lipodistrofia (LD), si deve attenere scrupolosamente ai Centri sopra individuati, verificando puntualmente che ogni specialista endocrinologo e pediatra sia incardinato nelle U.O. riconosciute.



La prescrizione da avviare al trattamento dovrà obbligatoriamente essere effettuata solo ed esclusivamente in accordo ai criteri di eleggibilità tramite **“Scheda di prescrizione ospedaliera medicinale Myalepta (Metreleptina)”**, in corso di implementazione nel sistema informativo Regionale EDOTTO, e fruibile tramite la funzione **“Gestire Piano Terapeutico”**, per consentire le successive fasi di monitoraggio ed erogazione.

La dispensazione del medicinale in oggetto, dovrà essere effettuata da parte dei Servizi Farmaceutici Territoriali delle ASL, dopo attenta verifica della corretta compilazione della scheda di prescrizione ospedaliera prevista dall'AIFA.

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
25.05.2022
09:53:21
GMT+00:00

Il Dirigente di Sezione

dott. Paolo Stella



Documento
firmato da:
Paolo Stella
25.05.2022
10:54:53 UTC

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 9 maggio 2022

Regime di rimborsabilit  e prezzo, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche, del medicinale per uso umano «Myalepta». (Determina n. 329/2022). (22A03006)

(GU n.119 del 23-5-2022)

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»);

Visti il decreto del Ministro della salute del 15 gennaio 2020, con cui il dott. Nicola Magrini   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   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   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 attivita' sportive e della lotta contro il doping»;

Visto il regolamento (CE) n. 1901/2006 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 12 dicembre 2006, relativo ai medicinali per uso pediatrico;

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 modificazioni ed 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 domanda presentata in data 23 settembre 2020, con la quale la società «Amryt Pharmaceuticals Dac» ha chiesto l'estensione delle indicazioni terapeutiche in regime di rimborso del medicinale «Myalepta» (metreleptina);

Visto il parere della Commissione consultiva tecnico-scientifica rilasciato nella seduta del 09-11 e 16 giugno 2021;

Visto il parere del Comitato prezzi e rimborso reso nella seduta del 21-23, 28 marzo 2022;

Vista la delibera n. 20 dell'11 aprile 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

La nuova indicazione terapeutica del medicinale MYALEPTA (metreleptina): «"Myalepta" e' indicato in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit

di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD) con diagnosi confermata di LD parziale familiare o di LD parziale acquisita (sindrome di Barraquer Simons) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 12 anni, per i quali le terapie standard non sono riuscite a raggiungere un controllo metabolico adeguato».

E' rimborsata come segue:

confezioni:

«11,3 mg - polvere per soluzione iniettabile - uso sottocutaneo - flaconcino (vetro)» - 30 flaconcini - A.I.C. n. 046926022/E (in base 10) - classe di rimborsabilità: «H» - prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 77.447,40 - prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 127.819,19;

«3 mg - polvere per soluzione iniettabile - uso sottocutaneo - flaconcino (vetro)» - 30 flaconcini - A.I.C. n. 046926046/E (in base 10) - classe di rimborsabilità: «H» - prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 19.361,85 - prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 31.954,80;

«5,8 mg - polvere per soluzione iniettabile - uso sottocutaneo - flaconcino (vetro)» 30 flaconcini - A.I.C. n. 046926061/E (in base 10) - classe di rimborsabilità: «H» - prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 38.723,70 - prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 63.909,59.

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 ospedaliera come da allegata 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 «Myalepta» (metreleptina) e' la seguente: medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti - endocrinologo e pediatra (RRL).

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, 9 maggio 2022

Il dirigente: Trotta

Allegato

SCHEDA DI PRESCRIZIONE OSPEDALIERA MEDICINALE MYALEPTA (metreleptina)

Parte di provvedimento in formato grafico

ALLEGATO

SCHEDA DI PRESCRIZIONE OSPEDALIERA MEDICINALE MYALEPTA (metreleptina)

(Da compilarsi ai fini della rimborsabilità SSN a cura dei soli specialisti ospedalieri in Endocrinologia e Pediatria; prima prescrizione e primo rinnovo della durata di 6 mesi, quindi possibilità di rinnovi annuali)

Centro prescrittore _____	
Medico prescrittore (cognome, nome) _____	
Tel. _____	e-mail _____

Paziente (cognome, nome) _____	
Data di nascita _____	sesto M ☐ F ☐ peso (kg) _____ altezza (cm) _____
Comune di nascita _____	Estero ☐
Codice fiscale _ _ _ _ _ _ _ _ _ _ _ _ _ _ _ _	
Residente a _____	Tel. _____
Regione _____	ASL di residenza _____ Prov. _____
Medico di Medicina Generale _____	

Indicazioni rimborsate SSN

Myalepta è indicato in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina

- ☐ negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 2 anni con alterazioni metaboliche e diagnosi confermata di lipodistrofia generalizzata congenita (sindrome di Berardinelli-Seip) o di lipodistrofia generalizzata acquisita (sindrome di Lawrence)
- ☐ negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 12 anni con diagnosi confermata di lipodistrofia parziale familiare o di lipodistrofia parziale acquisita (sindrome di Barraquer-Simons), in presenza di TUTTI i seguenti criteri:
 - 1) HbA1c $\geq 8\%$ e/o TG a digiuno ≥ 500 mg/dL;
 - 2) NASH/NAFLD/epatomegalia o ≥ 1 episodio di pancreatite o malattia cardiovascolare e/o cardiomiopatia o insufficienza renale (albuminuria e/o proteinuria) o insulinemia a digiuno ≥ 30 μ U/ml e/o >300 μ U/ml durante OGTT;
 - 3) risposta non adeguata alla terapia convenzionale di supporto (anti-diabetica, ipolipemizzante, anti-ipertensiva, antidolorifica) al dosaggio massimo tollerato.

Nota. Per i pazienti con lipodistrofia parziale già in trattamento con il medicinale precedentemente alla data di pubblicazione della presente scheda (ad es. nell'ambito di programma di uso compassionevole, accesso al fondo 5%, studio clinico, regime Cnn), la prosecuzione a carico SSN è consentita soltanto se il paziente presentava, al momento dell'inizio reale del trattamento, tutti i criteri di rimborsabilità sopra stabiliti.



Prescrizione MYALEPTA (metreleptina)

Dosaggio*: _____

☐ mg/kg/die☐ mg/die

*da RCP, par. 4.2

Tabella 1. Dose raccomandata di metreleptina

Peso al basale	Dose giornaliera iniziale (volume di iniezione)	Aggiustamenti della dose (volume di iniezione)	Dose massima giornaliera (volume di iniezione)
Maschi e femmine ≤ 40 kg	0,06 mg/kg (0,012 ml/kg)	0,02 mg/kg (0,004 ml/kg)	0,13 mg/kg (0,026 ml/kg)
Maschi > 40 kg	2,5 mg (0,5 ml)	da 1,25 mg (0,25 ml) a 2,5 mg (0,5 ml)	10 mg (2 ml)
Femmine > 40 kg	5 mg (1 ml)	da 1,25 mg (0,25 ml) a 2,5 mg (0,5 ml)	10 mg (2 ml)

In base alla risposta clinica (ad es. un controllo metabolico inadeguato) o ad altre considerazioni (ad es. problemi di tollerabilità; calo ponderale eccessivo, in particolare nei pazienti pediatrici), la dose può essere ridotta oppure aumentata fino alla dose massima riportata nella Tabella 1.

Specificare se si tratta di:

☐ Prima prescrizione (durata 6 mesi)

Prosecuzione di terapia

☐ 1° rinnovo (durata 6 mesi)

Dopo 1 anno di trattamento il paziente ha ottenuto un miglioramento clinico, definito da una riduzione dell'HbA1c $\geq 1.0\%$ e/o dei trigliceridi a digiuno $\geq 30\%$. ☐ Sì ☐ No

Rinnovo successivo al 1°

☐ durata 6 mesi☐ durata 12 mesi

La prosecuzione a carico SSN dopo 1 anno di trattamento è consentita soltanto in caso di miglioramento clinico secondo la definizione sopra riportata.

NOTA BENE

Il clinico deve prendere visione delle controindicazioni e precauzioni d'impiego riportate in RCP (cfr. par. 4.3-4.4-4.5-4.6-4.7). Si rimanda a RCP per posologia e modo di somministrazione (cfr. par. 4.2).

Confezioni di Myalepta prescritte (specificare dosaggio e numero di confezioni richiesto):

☐ Myalepta 3 mg polvere per soluzione iniettabile, 30 flaconcini

numero confezioni _____

☐ Myalepta 5.8 mg polvere per soluzione iniettabile, 30 flaconcini

numero confezioni _____

☐ Myalepta 11.3 mg polvere per soluzione iniettabile, 30 flaconcini

numero confezioni _____

Data _____

Timbro e Firma del Medico specialista prescrittore

