

PROTOCOLLO USCITA-VEDI TIMBRO  
Trasmissione in modalità telematica ai  
sensi dell'art.47 del d.lgs n. 82/2005

<b>U</b>
REGIONE PUGLIA
<b>COPIA CONFORME ALL'ORIGINALE DIGITALE</b>
Protocollo N. 0359962/2024 del 16/07/2024
AOU_RP - Class: 15.19
Firmatario: Paolo Stella, Giuseppe Marco De Novellis, Francesco Brunetti

**Direttori Generali**

**Aziende Sanitarie Locali**

(e per il loro tramite ai

- Direttori Sanitari;
- Direttori Distretti Socio Sanitari;
- Direttori Strutture Private Accreditate;
- Direttori medici dei P.O.;
- Direttori delle U.O. mediche;
- Direttori di Farmacia Ospedaliera/Territoriale)

**Direttori Generali delle AOU e IRCCS Pubblici**

(e per il loro tramite ai

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

**Rappr. Legali degli IRCCS ed EE Priv. Accr.**

(e per il loro tramite:

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

**Sezione Risorse Strumentali e Tecnologiche Sanitarie**

(DEC sistema Edotto)

**Exprivia S.P.A.**

**Soggetto Aggr. Regionale Innovapuglia S.p.A**

**Direttore Generale A.Re.S.S Puglia**

(e per il loro tramite:

- Direttore Area Innovazione di Sistemi e Qualità
- Coordinamento Regionale Malattie Rare – Co.re.Ma.R;)

e, p.c.

**Direttore del Dipartimento Promozione della Salute e del  
Benessere Animale**

**Oggetto: Determinazione AIFA n. 186/2024 in merito all'inserimento del medicinale Skyclarys (omaveloxolone) nell'elenco istituito ai sensi della legge n. 648/1996 per il trattamento dell'Atassia di Friedreich. Centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione.**

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) con Determinazione n. 186 del 05 luglio 2024, pubblicata in Gazzetta Ufficiale n. 160 del 10-07-2024, che si allega (Allegato 1), ha disposto l'inserimento del medicinale Skyclarys

**[www.regione.puglia.it](http://www.regione.puglia.it)**

**Sezione Farmaci, dispositivi medici e assistenza integrativa**

Via Gentile, 52 - 70126 Bari - Tel: 080 5403485

Email: [f.brunetti@regione.puglia.it](mailto:f.brunetti@regione.puglia.it) - pec: [farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it](mailto:farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it)

(omaveloxolone) nell'elenco istituito ai sensi della legge n. 648/1996 per la seguente indicazione terapeutica:

- *trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni.*

La Giunta Regionale, con provvedimento DGR n. 1757/2023 *“Preso d’atto della deliberazione del Direttore Generale A.Re.S.S. n. 94 del 28/04/2023. Aggiornamento della Rete Regionale Malattie Rare”* ha approvato i centri preposti alla diagnosi e cura delle Malattie spinocerebellari, a cui afferisce la Atassia di Friedreich, codificate con codice di esenzione RFG040.

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 individuano nella **Tab.1** dell’Allegato 2 alla presente, i Centri autorizzati alla prescrizione del medicinale per uso umano Skyclarys (omaveloxolone) per l’indicazione terapeutica ammessa alla rimborsabilità a carico del SSN, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648 di cui alla Determinazione AIFA n. 186/2024.

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.

Al fine di garantire il rispetto delle disposizioni emanate dall’AIFA sul medicinale in questione, le prescrizioni del farmaco Skyclarys (omaveloxolone) devono obbligatoriamente essere effettuate esclusivamente in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella Determina AIFA in oggetto, oltre che sul portale Istituzionale dell’AIFA al seguente link :

[https://www.aifa.gov.it/documents/20142/2471800/Allegato1\\_Omaveloxolone.pdf](https://www.aifa.gov.it/documents/20142/2471800/Allegato1_Omaveloxolone.pdf)

Ai fini della prescrizione, i medici specialisti esperti nel trattamento dell'atassia di Friedreich incardinati nei Centri autorizzati di cui alla Tab. 1 dell’Allegato 2 alla presente dovranno compilare obbligatoriamente il modello di Piano Terapeutico (PT) previsto dalla Determina AIFA stessa e riportato nell’ Allegato 3 alla presente. Si informa che il suddetto modello di PT è in corso di implementazione sul sistema informativo Regionale EDOTTO al fine di consentire la prescrizione in maniera informatizzata tramite la funzione “Gestire Piano Terapeutico” da parte dei Centri autorizzati; nelle more di tale implementazione informatica sarà comunque possibile utilizzare la modulistica cartacea, allegata alla presente, fermo restando la necessità di caricare successivamente i dati sul sistema informativo Edotto non appena sarà informatizzata tale procedura.

**[www.regione.puglia.it](http://www.regione.puglia.it)**

**Sezione Farmaci, dispositivi medici e assistenza integrativa**

Via Gentile, 52 - 70126 Bari - Tel: 080 5403485

Email: [f.brunetti@regione.puglia.it](mailto:f.brunetti@regione.puglia.it) - pec: [farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it](mailto:farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it)



**REGIONE  
PUGLIA**

**DIPARTIMENTO PROMOZIONE DELLA SALUTE E DEL BENESSERE  
ANIMALE  
SEZIONE FARMACI, DISPOSITIVI MEDICI E ASSISTENZA  
INTEGRATIVA**

La dispensazione a domicilio del medicinale in oggetto, dovrà essere effettuata da parte dei Servizi Farmaceutici Territoriali delle ASL, dopo attenta verifica della corretta compilazione del Piano Terapeutico e del rispetto dei requisiti di appropriatezza prescrittiva e criteri di eleggibilità stabiliti dalla Determina AIFA in oggetto.

La presente viene trasmessa alla società Exprivia per gli adeguamenti necessari sul Sistema Informativo Edotto ed al Soggetto Aggregatore Regionale Innovapuglia al fine di attivare con urgenza le procedure di appalto centralizzato su scala regionale per il medicinale in oggetto.

Il responsabile del presente procedimento è il Dott. Francesco Brunetti della Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa Regionale, i cui recapiti sono riportati in calce.

Distinti saluti.

**L'Istruttore**

Dott. Giuseppe Marco De Novellis

**Il Responsabile E.Q.**

***“Registri AIFA e Centri Prescrittori”***

Dott. Francesco Brunetti

**Il Dirigente della Sezione**

Dott. Paolo Stella

**[www.regione.puglia.it](http://www.regione.puglia.it)**

**Sezione Farmaci, dispositivi medici e assistenza integrativa**

Via Gentile, 52 - 70126 Bari - Tel: 080 5403485

Email: [f.brunetti@regione.puglia.it](mailto:f.brunetti@regione.puglia.it) - pec: [farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it](mailto:farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it)

PROTOCOLLO USCITA–VEDI TIMBRO  
Trasmissione in modalità telematica ai  
sensi dell'art.47 del d.lgs n. 82/2005

**Direttori Generali**

**Aziende Sanitarie Locali**

*(e per il loro tramite ai*

- *Direttori Sanitari;*
- *Direttori Distretti Socio Sanitari;*
- *Direttori Strutture Private Accreditate;*
- *Direttori medici dei P.O.;*
- *Direttori delle U.O. mediche;*
- *Direttori di Farmacia Ospedaliera/Territoriale)*

**Direttori Generali delle AOU e IRCCS Pubblici**

*(e per il loro tramite ai*

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

**Rappr. Legali degli IRCCS ed EE Priv. Accr.**

*(e per il loro tramite:*

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

**Sezione Risorse Strumentali e Tecnologiche Sanitarie**

*(DEC sistema Edotto)*

**Exprivia S.P.A.**

**Soggetto Aggr. Regionale Innovapuglia S.p.A**

**Direttore Generale A.Re.S.S Puglia**

*(e per il loro tramite:*

- *Direttore Area Innovazione di Sistemi e Qualità*
- *Coordinamento Regionale Malattie Rare – Co.re.Ma.R.;*

**e, p.c.**

**Direttore del Dipartimento Promozione della Salute e del  
Benessere Animale**

**Oggetto: Determinazione AIFA n. 186/2024 in merito all'inserimento del medicinale Skyclarys (omaveloxolone) nell'elenco istituito ai sensi della legge n. 648/1996 per il trattamento dell'Atassia di Friedreich. Centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione.**

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) con Determinazione n. 186 del 05 luglio 2024, pubblicata in Gazzetta Ufficiale n. 160 del 10-07-2024, che si allega (Allegato 1), ha disposto l'inserimento del medicinale Skyclarys

**[www.regione.puglia.it](http://www.regione.puglia.it)**

**Sezione Farmaci, dispositivi medici e assistenza integrativa**

Via Gentile, 52 - 70126 Bari - Tel: 080 5403485

Email: [f.brunetti@regione.puglia.it](mailto:f.brunetti@regione.puglia.it) - pec: [farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it](mailto:farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it)

(omaveloxolone) nell'elenco istituito ai sensi della legge n. 648/1996 per la seguente indicazione terapeutica:

- *trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni.*

La Giunta Regionale, con provvedimento DGR n. 1757/2023 *“Preso d’atto della deliberazione del Direttore Generale A.Re.S.S. n. 94 del 28/04/2023. Aggiornamento della Rete Regionale Malattie Rare”* ha approvato i centri preposti alla diagnosi e cura delle Malattie spinocerebellari, a cui afferisce la Atassia di Friedreich, codificate con codice di esenzione RFG040.

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 individuano nella **Tab.1** dell’Allegato 2 alla presente, i Centri autorizzati alla prescrizione del medicinale per uso umano Skyclarys (omaveloxolone) per l’indicazione terapeutica ammessa alla rimborsabilità a carico del SSN, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648 di cui alla Determinazione AIFA n. 186/2024.

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

Al fine di garantire il rispetto delle disposizioni emanate dall’AIFA sul medicinale in questione, le prescrizioni del farmaco Skyclarys (omaveloxolone) devono obbligatoriamente essere effettuate esclusivamente in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella Determina AIFA in oggetto, oltre che sul portale Istituzionale dell’AIFA al seguente link :

[https://www.aifa.gov.it/documents/20142/2471800/Allegato1\\_Omaveloxolone.pdf](https://www.aifa.gov.it/documents/20142/2471800/Allegato1_Omaveloxolone.pdf)

Ai fini della prescrizione, i medici specialisti esperti nel trattamento dell'atassia di Friedreich incardinati nei Centri autorizzati di cui alla Tab. 1 dell’Allegato 2 alla presente dovranno compilare obbligatoriamente il modello di Piano Terapeutico (PT) previsto dalla Determina AIFA stessa e riportato nell’ Allegato 3 alla presente. Si informa che il suddetto modello di PT è in corso di implementazione sul sistema informativo Regionale EDOTTO al fine di consentire la prescrizione in maniera informatizzata tramite la funzione *“Gestire Piano Terapeutico”* da parte dei Centri autorizzati; nelle more di tale implementazione informatica sarà comunque possibile utilizzare la modulistica cartacea, allegata alla presente, fermo restando la necessità di caricare successivamente i dati sul sistema informativo Edotto non appena sarà informatizzata tale procedura.

**[www.regione.puglia.it](http://www.regione.puglia.it)**

**Sezione Farmaci, dispositivi medici e assistenza integrativa**

Via Gentile, 52 - 70126 Bari - Tel: 080 5403485

Email: [f.brunetti@regione.puglia.it](mailto:f.brunetti@regione.puglia.it) - pec: [farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it](mailto:farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it)



**REGIONE  
PUGLIA**

**DIPARTIMENTO PROMOZIONE DELLA SALUTE E DEL BENESSERE  
ANIMALE  
SEZIONE FARMACI, DISPOSITIVI MEDICI E ASSISTENZA  
INTEGRATIVA**

La dispensazione a domicilio del medicinale in oggetto, dovrà essere effettuata da parte dei Servizi Farmaceutici Territoriali delle ASL, dopo attenta verifica della corretta compilazione del Piano Terapeutico e del rispetto dei requisiti di appropriatezza prescrittiva e criteri di eleggibilità stabiliti dalla Determina AIFA in oggetto.

La presente viene trasmessa alla società Exprivia per gli adeguamenti necessari sul Sistema Informativo Edotto ed al Soggetto Aggregatore Regionale Innovapuglia al fine di attivare con urgenza le procedure di appalto centralizzato su scala regionale per il medicinale in oggetto.

Il responsabile del presente procedimento è il Dott. Francesco Brunetti della Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa Regionale, i cui recapiti sono riportati in calce.

Distinti saluti.

**L'Istruttore**

Dott. Giuseppe Marco De Novellis



Giuseppe Marco De  
Novellis  
16.07.2024 09:57:11  
GMT+01:00

**Il Responsabile E.Q.**

***“Registri AIFA e Centri Prescrittori”***

Dott. Francesco Brunetti



Francesco  
Brunetti  
16.07.2024  
10:00:09  
GMT+01:00

**Il Dirigente della Sezione**

Dott. Paolo Stella



Paolo Stella  
16.07.2024  
08:51:13  
GMT+01:00

**[www.regione.puglia.it](http://www.regione.puglia.it)**

**Sezione Farmaci, dispositivi medici e assistenza integrativa**

Via Gentile, 52 - 70126 Bari - Tel: 080 5403485

Email: [f.brunetti@regione.puglia.it](mailto:f.brunetti@regione.puglia.it) - pec: [farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it](mailto:farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it)

# AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 5 luglio 2024

Inserimento del medicinale «Skyclarys», a base di omaveloxolone, nell'elenco istituito, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, per il trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di eta' pari o superiore a sedici anni. (Determina n. 186/2024). (24A03525)

(GU n.160 del 10-7-2024)

## IL PRESIDENTE

Visti gli articoli 8 e 9 del decreto legislativo 30 luglio 1999, n. 300;

Vista la legge 24 dicembre 1993, n. 537, recante «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 (SSN) unitamente alle «note relative alla prescrizione e modalita' di controllo delle confezioni riclassificate» e successive modificazioni e integrazioni;

Visto il decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito, con modificazioni, dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648 e successive modifiche, 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 SSN 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 della Repubblica italiana n. 219 del 19 settembre 2000, con errata-corrige riportata nella Gazzetta Ufficiale n. 232 del 4 ottobre 2000, concernente l'istituzione dell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del SSN, ai sensi della legge 23 dicembre 1996 n. 648;

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

Vista la deliberazione CIPE del 1° febbraio 2001, n. 3, come successivamente abrogata dal decreto del Ministro della salute 2 agosto 2019, di concerto con il Ministro dell'economia e delle finanze, recante «Criteri e modalita' con cui l'Agenzia italiana del farmaco determina, mediante negoziazione, i prezzi dei farmaci rimborsati dal Servizio sanitario nazionale», successivamente richiamata;

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, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326, che ha istituito l'Agenzia italiana del farmaco (AIFA) e, in particolare, il comma 33, che dispone la negoziazione del prezzo per i prodotti rimborsati dal SSN, tra Agenzia e aziende farmaceutiche titolari dell'autorizzazione e immissione in commercio (A.I.C.);

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, adottato ai sensi del summenzionato articolo 48, comma 13, recante le norme sull'organizzazione e il funzionamento dell'AIFA, così come da ultimo modificato dal decreto del Ministro della salute 8 gennaio 2024, n. 3, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze;

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 (EMA);

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, dalla legge 8 novembre 2012, n. 189, e successive modificazioni ed integrazioni;

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

Visto il decreto del Presidente del Consiglio dei ministri del 12 gennaio 2017, recante «Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza (LEA), di cui all'articolo 1, comma 7, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502», così come già definito e aggiornato dal decreto del Presidente del Consiglio dei ministri del 29 novembre 2001;

Visto il decreto del Ministro della salute 20 settembre 2018 che ha ricostituito la Commissione consultiva tecnico-scientifica (CTS) dell'AIFA, di cui all'articolo 19 del decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245, per la durata di tre anni;

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;

Visto il decreto del Ministro della salute 5 aprile 2024 con cui, a decorrere dalla data dello stesso, il prof. Robert Giovanni Nistico è stato nominato Presidente del consiglio di amministrazione dell'AIFA, ai sensi dell'articolo 7 del citato decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245 e successive modificazioni ed integrazioni;

Visto il decreto del Ministro della salute 9 febbraio 2024 di nomina del dott. Pierluigi Russo quale direttore tecnico scientifico dell'AIFA ai sensi dell'articolo 10-bis del citato decreto 8 gennaio 2024, n. 3, dal titolo «Regolamento recante modifiche al regolamento sull'organizzazione e sul funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco» di cui al decreto ministeriale 20 settembre 2004, n. 245, sopracitato;

Visto il decreto del Ministero della salute 2 agosto 2019, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana n. 185 del 27 luglio 2020, concernente i criteri e modalità con cui l'AIFA determina, mediante negoziazione, i prezzi dei farmaci rimborsati dal SSN;

Visto l'articolo 38 del decreto legge 6 novembre 2021, n. 152, convertito in legge, con modificazioni, dall'art. 1, comma 1, legge 29 dicembre 2021, n. 233, il quale prevede la proroga della Commissione consultiva tecnico-scientifica e del Comitato prezzi e rimborso operanti presso l'AIFA fino al 28 febbraio 2022, successivamente prorogato fino al 1° dicembre 2023, in virtù del decreto-legge 29 settembre 2023, n. 132;

Vista la legge 30 dicembre 2023, n. 213 e la ripubblicazione del testo della stessa recante «Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2024 e bilancio pluriennale per il triennio 2024-2026»;

Tenuto conto che in data 26 marzo 2024 si è insediata la nuova Commissione scientifica ed economica del farmaco (CSE) dell'AIFA che

concentra le funzioni e le competenze proprie sia della precedente Commissione consultiva tecnico-scientifica (CTS) sia del Comitato prezzi e rimborso (CPR);

Visto il «Regolamento recante norme sull'organizzazione e il funzionamento della Commissione scientifico-economica del farmaco dell'Agenzia italiana del farmaco», così come adottato dal consiglio di amministrazione dell'AIFA nella riunione del 17 aprile 2024 con delibera n. 6;

Tenuto conto che l'Atassia di Friedreich (FA) è un disturbo del movimento genetico, progressivo e neurodegenerativo causato da una disfunzione mitocondriale annoverato tra le malattie genetiche rare;

Considerate le evidenze relative all'efficacia e alla sicurezza del medicinale «Skyclarlys» (p.a. omaveloxolone) per il trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni;

Considerata la decisione di esecuzione della Commissione europea relativa all'A.I.C. del medicinale «Skyclarlys», a base di omaveloxolone in forza del regolamento (CE) n. 726/2004 del Parlamento europeo e del Consiglio, datata 9 febbraio 2024;

Ritenuto, pertanto, opportuno rendere disponibile, a totale carico del SSN, il medicinale «Skyclarlys» a base di omaveloxolone per i pazienti di età maggiore o uguale ai sedici anni, affetti da Atassia di Friedreich confermata da test genetico;

Tenuto conto della decisione assunta dalla CTS dell'AIFA nella riunione del 10, 11 e 12 ottobre 2023 - stralcio verbale n. 96;

Tenuto conto del perfezionamento, in data 1° luglio 2024, dell'accordo negoziale tra la Biogen Italia S.r.l., in rappresentanza della Reata Limited e l'AIFA avente a oggetto il medicinale «Skyclarlys», a base di omaveloxolone, indicato «per il trattamento dell'atassia di Friedrich (FA) negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni»;

Vista la delibera del consiglio di amministrazione di AIFA del 22 maggio 2024, n. 16;

Ritenuto, pertanto, di includere il medicinale «Skyclarlys» a base di omaveloxolone nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del SSN, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, per il trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni;

Determina:

#### Art. 1

Inserimento del medicinale «Skyclarlys» (omaveloxolone) nell'elenco di cui alla legge n. 648/1996

1. Il medicinale SKYCLARYS a base di omaveloxolone è inserito nell'elenco, istituito con provvedimento della Commissione unica del farmaco, di cui all'art. 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648.

2. Il medicinale «Skyclarlys» a base di omaveloxolone per l'indicazione terapeutica «trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni» è, pertanto, erogabile, a totale carico del SSN, nel rispetto delle condizioni sopra indicate e di quelle di cui all'allegato 1 alla presente determina, che ne forma parte integrante.

3. Ai fini delle prescrizioni a carico del SSN, i centri utilizzatori applicano le condizioni negoziali di cui all'accordo negoziale tra AIFA e Biogen Italia S.r.l., perfezionato il 1° luglio 2024 e citato in premessa, e, comunque, fino alla data di pubblicazione del provvedimento finale di classificazione e prezzo nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana.

4. Per la consultazione delle liste dei farmaci a totale carico del SSN, si rimanda agli elenchi pubblicati sul sito istituzionale dell'AIFA ([www.aifa.gov.it](http://www.aifa.gov.it)).

#### Art. 2

##### Pubblicazione ed efficacia

La presente determina è efficace dal giorno successivo alla sua

pubblicazione sulla Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana.  
Roma, 5 luglio 2024

Il Presidente: Nistico'

Allegato 1

Denominazione: SKYCLARYS (omaveloxolone).

Indicazione terapeutica: trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 16 anni.

Criteri di inclusione.

Età  $\geq$  16 anni.

Diagnosi di atassia di Friedreich confermata da test genetico.

Scala Friedreich's Ataxia Rating Scale (mFARS)  $<$  80.

Criteri di esclusione.

Compromissione epatica severa (Child-Pugh classe C).

Tasso di filtrazione glomerulare stimato (eGFR)  $<$  30 ml/min.

Scala New York Heart Association (NYHA) per lo scompenso cardiaco  $>$  III.

Periodo di prescrizione a totale carico del Servizio sanitario nazionale: fino a nuova determina dell'Agenzia italiana del farmaco.

Piano terapeutico.

La dose raccomandata è 150 mg di omaveloxolone «Skyclarys» (3 capsule rigide da 50 mg ciascuna) una volta al giorno.

Per le modifiche della dose si rimanda al paragrafo 4.2 del riassunto delle caratteristiche del prodotto del medicinale «Skyclarys».

Per le avvertenze speciali e le precauzioni d'impiego, si rimanda al paragrafo 4.4 del riassunto delle caratteristiche del prodotto del medicinale «Skyclarys».

Durante l'assunzione del farmaco e fino a 4 settimane dopo la sua sospensione i pazienti in età fertile dovranno utilizzare un metodo di controllo delle nascite altamente efficace. Sono metodi di controllo delle nascite altamente efficaci quelli che garantiscono un tasso di fallimento inferiore all'1% in un anno.

Altre condizioni da osservare: le modalità 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, modalità di prescrizione e di dispensazione del medicinale;

art. 6: rilevamento e trasmissione dei dati di spesa.

Parametri per il monitoraggio clinico:

prima dell'inizio del trattamento: emocromo con formula, AST, ALT, bilirubina, colesterolo totale, LDL e HDL, eGFR, BNP (o NT/proBNP);

una volta al mese per i primi 3 mesi, poi ogni 6 mesi: AST, ALT, bilirubina;

ogni 6 mesi: emocromo con formula, colesterolo totale, LDL, HDL, eGFR, BNP (o NT/proBNP).

**ALLEGATO 2**

**CENTRI AUTORIZZATI ALLA PRESCRIZIONE DEL MEDICINALE SKYCLARYS (OMAVELOXOLONE) PER L'INDICAZIONE AUTORIZZATA DALL'AIFA IN REGIME SSN AI SENSI DELLA LEGGE N. 648/1996 "TRATTAMENTO DELL'ATASSIA DI FRIEDREICH NEGLI ADULTI E NEGLI ADOLESCENTI DI ETÀ PARI O SUPERIORE A SEDICI ANNI"**

**Tab.1**

<b>CENTRI</b>	<b>U.O.</b>	<b>Codice EDOTTO</b>
A.O.U. Policlinico di Bari – Ospedale Pediatrico Giovanni XXIII	Neuropsichiatria infantile	968658
	Neurologia Univ. "L. Amaducci"	966245
	Malattie Apparato Respiratorio Univ.	966217
Ospedale "L. Bonomo" Andria	Neurologia	969138
Ospedale Barletta "Mons. R. Dimiccoli"	Neurologia	969208
IRCCS E. Medea Brindisi	Neuroriabilitazione	968687
IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza	Neurologia	969573



S.I.S. :REGIONE PUGLIA

ASL:

**SCHEDA DI PRESCRIZIONE SU DIAGNOSI E PIANO  
TERAPEUTICO (PT)**

**MEDICINALE SKYCLARYS (OMAVELOXOLONE)  
DET. AIFA N. 186/2024 – L.648/96**

**“TRATTAMENTO DELL'ATASSIA DI FRIEDREICH  
NEGLI ADULTI E NEGLI ADOLESCENTI DI ETÀ PARI O  
SUPERIORE A SEDICI ANNI”**

<b>Centro Prescrittore</b>	<input type="text"/>		
<b>Medico Prescrittore</b>	<input type="text"/>		
<b>Tel.</b>	<input type="text"/>	<b>e-mail</b>	<input type="text"/>

<b>Codice fiscale</b>	<input type="text"/>	<b>Cognome nome</b>	<input type="text"/>
<b>Data nascita</b>	<input type="text"/>	<b>Sesso</b>	<input type="radio"/> Maschio <input type="radio"/> Femmina
<b>Asl Residenza</b>	<input type="text"/>	<b>Residenza</b>	<input type="text"/>
<b>Tel.</b>	<input type="text"/>	<b>MMG</b>	<input type="text"/>

**Criteri di Inclusione:**

**Diagnosi di Atassia di Friedreich confermata da test genetico**

**Formulata in data:**

**Età ≥ 16 anni**

**Scala Friedreich's Ataxia Rating Scale (mFARS) < 80**

**Criteri di esclusione:**

- compromissione epatica severa (Child-Pugh classe C)
- tasso di filtrazione glomerulare stimato (eGFR) < 30ml/min
- Scala New York Heart Association (NYHA) per lo scompenso cardiaco > III

**PROGRAMMA TERAPEUTICO**

**Conf. e forma farmac.**

**Posologia**

La dose raccomandata è di 150 mg di Skylarys (omaveloxolone) (3 capsule rigide da 50 mg ciascuna) una volta al giorno

Per le modifiche della dose si rimanda al Paragrafo 4.2 del Riassunto delle caratteristiche del medicinale Skylarys (omaveloxolone).

**Durata trattamento**  Giorni   Mesi  **Data Termine**

Prima prescrizione  Prosecuzione cura

**Data Emissione**

**Dichiarazione di acquisizione del consenso informato dal paziente**

Periodo di prescrizione a totale carico del SSN stabilito dalla Determina AIFA 186/2024: fino a nuova Determina dell'Agencia Italiana del Farmaco