



**REGIONE
PUGLIA**

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

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)*

Exprivia S.P.A.

Soggetto Aggr. Regionale Innovapuglia S.p.A

Direttore Generale A.Re.S.S Puglia

(e per il suo tramite a:

- *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: Determinazioni AIFA n. 776/2024 e 777/2024 in merito alla riclassificazione dei medicinali per uso umano Pombiliti (cipaglicosidasi alfa) e Opfolda (miglustat). Ricognizione dei Centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione e Aggiornamento dell'elenco dei farmaci per il trattamento della Malattia di Pompe.

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) con Determinazioni n. 776 e n. 777 del 13 dicembre 2024 pubblicate in GU n. 298 del 20.12.2024, che si allegano, ha disposto la riclassificazione dei medicinali per uso umano Pombiliti (cipaglicosidasi alfa) e Opfolda (miglustat) per le seguenti indicazioni terapeutiche:

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 - pec: farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it

REGIONE PUGLIA	U
COPIA CONFORME ALL'ORIGINALE DIGITALE	
Protocollo N.0034791/2025 del 22/01/2025	
AOU_RP - Class: 15.19	
Firmatario: Francesco Brunetti, Paolo Stella	



**REGIONE
PUGLIA**

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

- a) Pombiliti (cipaglucosidasi alfa) - è una terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine usata in associazione allo stabilizzatore enzimatico miglustat per il trattamento di adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α -glucosidasi acida [GAA]).
- b) Opfolda (miglustat) - è uno stabilizzatore enzimatico della cipaglucosidasi alfa per la terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α -glucosidasi acida [GAA]).

Tale medicinale sono:

- classificati ai fini della rimborsabilità H;
- soggetti a prescrizione medica (RR).

La Giunta Regionale, con provvedimento DGR n. 1062/2024 "Modifica ed integrazione della DGR n. 1757 del 30/11/2023. Individuazione dei Centri afferenti alla Rete Regionale Malattie Rare" ha approvato e aggiornato i centri preposti alla diagnosi e cura dei difetti congeniti del metabolismo e del trasporto dei carboidrati cui afferisce la Malattia di Pompe codificata con codice di esenzione RCG060.

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.

Con precedenti note agli atti, la scrivente Sezione ha individuato e aggiornato i Centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione dei farmaci per il trattamento della Malattia di Pompe.

Pertanto, si riporta in **Tab.1**, allegata alla presente, l'elenco dei centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione e in **Tab.2**, sempre allegata alla presente, l'elenco aggiornato dei medicinali per il trattamento della patologia di cui sopra.

Tale ricognizione e aggiornamento è stato effettuato 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., per quanto concerne l'abilitazione degli specialisti preposti alla prescrizione dei medicinali in oggetto, che si ricorda essere riservata esclusivamente ai medici **specialisti esperti nel trattamento della Malattia di Pompe**, si devono attenere scrupolosamente ai Centri di cui alla tab.1, verificando puntualmente che ogni specialista sia incardinato nelle U.O./servizi riconosciuti.

In virtù di quanto previsto dalla RCP del farmaco Pombiliti (cipaglucosidasi alfa) *"Il trattamento deve essere somministrato sotto la supervisione di un medico esperto nella gestione dei pazienti affetti da Malattia di Pompe o da altre patologie metaboliche o neuromuscolari ereditare"*, si ritiene opportuno che la

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 - pec: farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it



**REGIONE
PUGLIA**

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

dispensazione di entrambi i medicinali in oggetto, venga effettuata da parte del Servizio Farmaceutico Ospedaliero in cui insiste il centro autorizzato alla prescrizione degli stessi per la successiva somministrazione in ambito ospedaliero, dopo attenta verifica della corretta registrazione della prescrizione informatizzata nel sistema informativo Edotto.

Come previsto dalla RCP del farmaco Pombiliti (cipaglicosidasi alfa) *“L’infusione di cipaglicosidasi alfa a domicilio può essere considerata per i pazienti che tollerano bene le infusioni e non presentano anamnesi di IAR moderate o gravi per alcuni mesi. La decisione di far passare il paziente alle infusioni a domicilio deve essere presa dopo la valutazione del medico curante o sua valutazione...”*, si ritiene che, nei casi in cui il medico, attesti tale possibilità, sarà possibile effettuare la distribuzione diretta dei farmaci Pombiliti (cipaglicosidasi alfa) e Opfolda (miglustat) tramite i Servizi Farmaceutici Territoriali delle ASL per la somministrazione a domicilio del paziente.

Alla società Exprivia, si chiede di inserire i medicinali in oggetto nel PTR Edotto.

Si invitano il Soggetto Aggregatore Regionale Innovapuglia e l’Azienda Capofila ASL BA, ognuno per quanto di propria competenza e responsabilità a procedere con urgenza alle procedure di appalto centralizzato su scala regionale di tali nuovi farmaci esclusivi.

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.

Il Responsabile E.Q.

“Registri AIFA e Centri Prescrittori”

Dott. Francesco Brunetti

Il Dirigente della Sezione

Dott. Paolo Stella

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 - pec: farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it



**REGIONE
PUGLIA**

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

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)*

Exprivia S.P.A.

Soggetto Aggr. Regionale Innovapuglia S.p.A

Direttore Generale A.Re.S.S Puglia

(e per il suo tramite a:

- *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: Determinazioni AIFA n. 776/2024 e 777/2024 in merito alla riclassificazione dei medicinali per uso umano Pombiliti (cipaglicosidasi alfa) e Opfolda (miglustat). Ricognizione dei Centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione e Aggiornamento dell'elenco dei farmaci per il trattamento della Malattia di Pompe.

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) con Determinazioni n. 776 e n. 777 del 13 dicembre 2024 pubblicate in GU n. 298 del 20.12.2024, che si allegano, ha disposto la riclassificazione dei medicinali per uso umano Pombiliti (cipaglicosidasi alfa) e Opfolda (miglustat) per le seguenti indicazioni terapeutiche:

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 - pec: farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it



**REGIONE
PUGLIA**

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

- a) Pombiliti (cipaglicosidasi alfa) - è una terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine usata in associazione allo stabilizzatore enzimatico miglustat per il trattamento di adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α -glucosidasi acida [GAA]).
- b) Opfolda (miglustat) - è uno stabilizzatore enzimatico della cipaglicosidasi alfa per la terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α -glucosidasi acida [GAA]).

Tale medicinale sono:

- classificati ai fini della rimborsabilità H;
- soggetti a prescrizione medica (RR).

La Giunta Regionale, con provvedimento DGR n. 1062/2024 "Modifica ed integrazione della DGR n. 1757 del 30/11/2023. Individuazione dei Centri afferenti alla Rete Regionale Malattie Rare" ha approvato e aggiornato i centri preposti alla diagnosi e cura dei difetti congeniti del metabolismo e del trasporto dei carboidrati cui afferisce la Malattia di Pompe codificata con codice di esenzione RCG060.

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.

Con precedenti note agli atti, la scrivente Sezione ha individuato e aggiornato i Centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione dei farmaci per il trattamento della Malattia di Pompe.

Pertanto, si riporta in **Tab.1**, allegata alla presente, l'elenco dei centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione e in **Tab.2**, sempre allegata alla presente, l'elenco aggiornato dei medicinali per il trattamento della patologia di cui sopra.

Tale ricognizione e aggiornamento è stato effettuato 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., per quanto concerne l'abilitazione degli specialisti preposti alla prescrizione dei medicinali in oggetto, che si ricorda essere riservata esclusivamente ai medici **specialisti esperti nel trattamento della Malattia di Pompe**, si devono attenere scrupolosamente ai Centri di cui alla tab.1, verificando puntualmente che ogni specialista sia incardinato nelle U.O./servizi riconosciuti.

In virtù di quanto previsto dalla RCP del farmaco Pombiliti (cipaglicosidasi alfa) *"Il trattamento deve essere somministrato sotto la supervisione di un medico esperto nella gestione dei pazienti affetti da Malattia di Pompe o da altre patologie metaboliche o neuromuscolari ereditare"*, si ritiene opportuno che la

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 - pec: farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it



**REGIONE
PUGLIA**

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

dispensazione di entrambi i medicinali in oggetto, venga effettuata da parte del Servizio Farmaceutico Ospedaliero in cui insiste il centro autorizzato alla prescrizione degli stessi per la successiva somministrazione in ambito ospedaliero, dopo attenta verifica della corretta registrazione della prescrizione informatizzata nel sistema informativo Edotto.

Come previsto dalla RCP del farmaco Pombiliti (cipaglicosidasi alfa) *“L’infusione di cipaglicosidasi alfa a domicilio può essere considerata per i pazienti che tollerano bene le infusioni e non presentano anamnesi di IAR moderate o gravi per alcuni mesi. La decisione di far passare il paziente alle infusioni a domicilio deve essere presa dopo la valutazione del medico curante o sua valutazione...”*, si ritiene che, nei casi in cui il medico, attesti tale possibilità, sarà possibile effettuare la distribuzione diretta dei farmaci Pombiliti (cipaglicosidasi alfa) e Opfolda (miglustat) tramite i Servizi Farmaceutici Territoriali delle ASL per la somministrazione a domicilio del paziente.

Alla società Exprivia, si chiede di inserire i medicinali in oggetto nel PTR Edotto.

Si invitano il Soggetto Aggregatore Regionale Innovapuglia e l’Azienda Capofila ASL BA, ognuno per quanto di propria competenza e responsabilità a procedere con urgenza alle procedure di appalto centralizzato su scala regionale di tali nuovi farmaci esclusivi.

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.

Il Responsabile E.Q.

“Registri AIFA e Centri Prescrittori”

Dott. Francesco Brunetti



Francesco
Brunetti
22.01.2025
16:13:52
GMT+01:00

Il Dirigente della Sezione

Dott. Paolo Stella



Paolo Stella
22.01.2025
17:29:46
GMT+02:00

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 - pec: farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it



**REGIONE
PUGLIA**

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

Tab.1

CENTRI OSPEDALIERI ASL-AAOO UNIV-IRCCS-EE.	UNITA' OPERATIVE	CODICE EDOTTO
AO Univ. Cons. Policlinico-Bari	Medicina Interna "G. Baccelli" Endocrinologia	966232 964626
AO Univ. Giovanni XXIII Bari	Malattie Metaboliche e Genetiche	968922
Ospedale V. Fazzi-Lecce	Endocrinologia (Adulti)	970020

Tab.2

Indicazione Terapeutica	Principio attivo	Brevetto scaduto SI/NO	Classe di rimborsabilità/f ornitura	Innovatività SI/NO
MALATTIA DI POMPE	AVALGLUCOSIDASI ALFA	NO	H-RR	NO
	ALGLUCOSIDASI ALFA	NO	H-OSP	NO
	CIPAGLUCOSIDASI ALFA	NO	H-RR	NO
	MIGLUSTAT	NO	H-RR	NO

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 - pec: farmaceutica.regione@pec.rupar.puglia.it

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 13 dicembre 2024

Riclassificazione del medicinale per uso umano «Pombiliti», ai sensi dell'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537. (Determina n. 776/2024). (24A06849)

(GU n.298 del 20-12-2024)

IL PRESIDENTE

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 20 settembre 2004, n. 245 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze, recante «Regolamento recante norme sull'organizzazione ed il funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco, a norma dell'art. 48, comma 13, del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326», come da ultimo modificato dal decreto 8 gennaio 2024, n. 3 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 11 del 15 gennaio 2024;

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);

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

Visto il decreto del Ministro della salute 9 febbraio 2024 di nomina del dott. Pierluigi Russo quale direttore tecnico-scientifico dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'art. 10-bis del citato decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245 e successive modificazioni;

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

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. 1394/2007 del Parlamento europeo e del Consiglio del 13 novembre 2007 sui medicinali per terapie avanzate,

recante modifica della direttiva n. 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»;

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;

Visto l'art. 17 della legge 5 agosto 2022, n. 118, recante «Legge annuale per il mercato e la concorrenza 2021»;

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. 68/2024 del 21 maggio 2024, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 129 del 4 giugno 2024, recante «Classificazione, ai sensi dell'art. 12, comma 5, della legge 8 novembre 2012, n. 189, del medicinale per uso umano, a base di cipaglucosidasi alfa, "Pombiliti"»;

Vista la domanda presentata in data 6 luglio 2023 con la quale la società Amicus Therapeutics Europe Limited ha chiesto la riclassificazione, ai fini della rimborsabilità, del medicinale «Pombiliti» (cipaglucosidasi alfa);

Visto il parere espresso dalla Commissione consultiva tecnico-scientifica nella seduta del 5-6,11 dicembre 2023;

Visto il parere reso dalla Commissione scientifica ed economica nella seduta del 7-11 ottobre 2024;

Vista la delibera n. 57 del 20 novembre 2024 del consiglio di amministrazione dell'AIFA, 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 POMBILITI (cipaglucosidasi alfa) nelle confezioni sotto indicate è classificato come segue.

Indicazioni terapeutiche oggetto della negoziazione: «Pombiliti» (cipaglucosidasi alfa) è una terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine usata in associazione allo stabilizzatore enzimatico miglustat per il trattamento di adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α -glucosidasi acida [GAA]).

Confezioni:

«105 mg - polvere per concentrato per soluzione per infusione -

uso endovenoso - flaconcino (vetro)» 25 flaconcini - A.I.C. n. 050638030/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': H. Prezzo ex-factory (IVA esclusa): euro 26.201,88. Prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 43.243,58;

«105 mg - polvere per concentrato per soluzione per infusione - uso endovenoso - flaconcino (vetro)» 10 flaconcini - A.I.C. n. 050638028/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': H. Prezzo ex-factory (IVA esclusa): euro 10.480,75. Prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 17.297,43;

«105 mg - polvere per concentrato per soluzione per infusione - uso endovenoso - flaconcino (vetro)» 1 flaconcino - A.I.C. n. 050638016 /E (in base 10). Classe di rimborsabilita': H. Prezzo ex-factory (IVA esclusa): euro 1.048,08. Prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 1.729,75;

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 societa', 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.

Validita' del contratto: ventiquattro mesi.

Art. 2

Classificazione ai fini della fornitura

La classificazione ai fini della fornitura del medicinale «Pombiliti» (cipaglucosidasi alfa) e' la seguente: medicinale soggetto a prescrizione medica (RR).

Art. 3

Disposizioni finali

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

Roma, 13 dicembre 2024

Il Presidente: Nistico'

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 13 dicembre 2024

Riclassificazione del medicinale per uso umano «Opfolda», ai sensi dell'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537. (Determina n. 777/2024). (24A06850)

(GU n.298 del 20-12-2024)

IL PRESIDENTE

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 20 settembre 2004, n. 245 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze, recante «Regolamento recante norme sull'organizzazione ed il funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco, a norma dell'art. 48, comma 13, del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326», come da ultimo modificato dal decreto 8 gennaio 2024, n. 3 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale, Serie generale, n. 11 del 15 gennaio 2024;

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

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

Visto il decreto del Ministro della salute 9 febbraio 2024 di nomina del dott. Pierluigi Russo quale direttore tecnico - scientifico dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'art. 10-bis del citato decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245 e successive modificazioni.;

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

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. 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»;

Visto il decreto del Ministero della salute del 2 agosto 2019 recante «Criteri e modalita' 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 piu' alto livello di tutela della salute», convertito, con modificazioni, nella legge 8 novembre 2012, n. 189, e successive modificazioni ed integrazioni;

Visto l'art. 17 della legge 5 agosto 2022, n. 118, recante «Legge annuale per il mercato e la concorrenza 2021»;

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. 118/2023 del 2 ottobre 2023, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana, Serie generale, n. 242 del 16 ottobre 2023, recante «Classificazione, ai sensi dell'art. 12, comma 5, della legge 8 novembre 2012, n. 189, del medicinale per uso umano, a base di miglustat, "Opfolda"»;

Vista la domanda presentata in data 6 luglio 2023 con la quale la societa' Amicus Therapeutics Europe Limited ha chiesto la riclassificazione, ai fini della rimborsabilita', del medicinale «Opfolda» (miglustat);

Visto il parere espresso dalla Commissione consultiva tecnico-scientifica nella seduta del 5-6, 11 dicembre 2023;

Visto il parere reso dalla Commissione scientifica ed economica nella seduta del 7-11 ottobre 2024;

Vista la delibera n. 57 del 20 novembre 2024 del consiglio di amministrazione dell'AIFA, concernente l'approvazione dei medicinali ai fini dell'autorizzazione all'immissione in commercio e rimborsabilita' da parte del Servizio sanitario nazionale;

Visti gli atti d'ufficio;

Determina:

Art. 1

Classificazione ai fini della rimborsabilita'

Il medicinale OPFOLDa (miglustat) nelle confezioni sotto indicate e' classificato come segue.

Indicazioni terapeutiche oggetto della negoziazione:

«Opfolda» (miglustat) e' uno stabilizzatore enzimatico della cipaglicosidasi alfa per la terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α -glucosidasi acida [GAA]).

Confezione: «65 mg - capsula rigida - uso orale - flacone (HDPE)» 4 capsule - A.I.C. n. 050750013/E (in base 10).

Classe di rimborsabilita': H.

Prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 130,00.

Prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 214,55.
Confezione: «65 mg - capsula rigida - uso orale - flacone (HDPE)»
24 capsule - A.I.C. n. 050750025/E (in base 10).
Classe di rimborsabilit : H.
Prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 780,00.
Prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 1.287,31.
La societ , 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.
Validit  del contratto: ventiquattro mesi.

Art. 2

Classificazione ai fini della fornitura

La classificazione ai fini della fornitura del medicinale «Opfolda»
(miglustat) e' la seguente: medicinale soggetto a prescrizione medica
(RR).

Art. 3

Disposizioni finali

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

Roma, 13 dicembre 2024

Il Presidente: Nistico'