



**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

U
REGIONE PUGLIA
COPIA CONFORME ALL'ORIGINALE DIGITALE
Protocollo N.0236974/2025 del 06/05/2025
AOU_RP - Class: 15.19
Firmatario: Giuseppe Marco De Novellis, Francesco Brunetti, Paolo Stella

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: Determinazione AIFA n. 174/2025 in merito alla riclassificazione del medicinale per uso umano Loargys (pegzilarginasi). Centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione.

L'Agenda Italiana del Farmaco (AIFA) con Determinazione n. 174/2025, pubblicata in Gazzetta Ufficiale n. 31 del 07.02.2025, che si allega, ha disposto la riclassificazione del medicinale per uso umano Loargys (pegzilarginasi) per l'indicazione terapeutica:

- *indicato per il trattamento del deficit di arginasi 1 (ARG1-D), noto anche come iperargininemia, in adulti, adolescenti e bambini a partire dai 2 anni di età.*

Tale medicinale è:

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**

- classificato ai fini della rimborsabilità H;
- soggetto a prescrizione medica limitativa, da rinnovare volta per volta, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti dei centri regionali per le malattie rare (RNRL);
- sottoposto a monitoraggio web-based dei registri AIFA, con attribuzione del requisito dell'innovazione terapeutica condizionata, in relazione all'indicazione terapeutica negoziata, da cui consegue l'inserimento nei prontuari terapeutici regionali nei termini previsti dalla normativa vigente (art. 10, comma 2, del decreto-legge n. 158/2012, convertito, con modificazioni, nella legge n. 189/2012).

Ai sensi di quanto stabilito dalla suddetta determinazione AIFA, la rimborsabilità in regime SSN del medicinale in oggetto per le indicazioni di cui sopra è prevista nel rispetto delle condizioni di cui all'art.3...*"Ai fini della prescrizione e della dispensazione del medicinale, i medici ed i farmacisti afferenti ai centri utilizzatori specificatamente individuati dalle Regioni dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata disponibile a fronte dell'accesso attraverso il sito istituzionale dell'AIFA, all'indirizzo web <https://servizionline.aifa.gov.it/>...I medici ed i farmacisti abilitati all'accesso al registro di monitoraggio AIFA dovranno effettuare la prescrizione e dispensazione del medicinale in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'AIFA: <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1...>"*.

Ai sensi di quanto previsto dall'art. 10 del D.L. 158/2012 convertito nella Legge 8 novembre 2012, n 189, i nuovi farmaci per i quali la Commissione consultiva tecnico-scientifica dell'AIFA, abbia stabilito il requisito della innovatività terapeutica, *"...devono essere resi immediatamente disponibili agli assistiti, anche senza il formale inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri regionali..."*

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.

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 del ciclo dell'urea e iperammoniemi ereditarie, cui afferisce l'iperargininemia codificata con codice di esenzione RCG050.

Pertanto, si riporta in **Tab.1**, allegata alla presente, l'elenco dei Centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione del medicinale Loargys (pegzilarginasi) per l'indicazione rimborsata 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 Accredimenti della Regione Puglia sul Sistema Informativo Regionale Edotto, che costituisce la base informativa di riferimento.

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

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 del deficit di arginasi 1 (ARG1-D), noto anche come iperargininemia**, si devono attenere scrupolosamente ai Centri di cui alla tab.1, verificando puntualmente che ogni specialista sia incardinato nelle U.O./servizi riconosciuti.

Al fine di garantire la disponibilità dei trattamenti ai pazienti le prescrizioni del medicinale in questione devono obbligatoriamente essere effettuate solo ed esclusivamente in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale Istituzionale dell'AIFA al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-loargys>

Le prescrizioni del medicinale in oggetto per l'indicazione di cui sopra devono essere obbligatoriamente effettuate mediante la compilazione sulla Piattaforma dei Registri web-based AIFA. Le suddette prescrizioni, dovranno altresì essere registrate sul sistema informativo regionale Edotto mediante l'utilizzo della funzionalità "prescrizione on line".

In virtù di quanto previsto dalla RCP del farmaco Loargys (pegzilarginasi) "...*indicato per l'infusione o l'iniezione sottocutanea e deve essere somministrato da un operatore sanitario*", si ritiene opportuno che la dispensazione 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 "*Se del caso, la somministrazione sottocutanea a domicilio da parte del paziente o di chi lo assiste può essere presa in considerazione dopo almeno 8 settimane di trattamento, dopo che il rischio di reazioni di ipersensibilità è stato valutato come basso ed è stata stabilita una dose di mantenimento stabile (vedere paragrafo 4.4).Prima dell'autosomministrazione, il paziente o chi lo assiste deve aver ricevuto adeguate istruzioni*" si ritiene che, nei casi in cui il medico, attesti tale possibilità, sarà possibile effettuare la distribuzione diretta tramite i Servizi Farmaceutici Territoriali delle ASL per la somministrazione a domicilio del paziente.

La stessa AIFA informa che dal 08/02/2025 è disponibile, sulla piattaforma web dei Registri, il MEA relativo al Registro LOARGYS.

A tal riguardo si riporta il link del comunicato pubblicato sul portale istituzionale AIFA:

<https://www.aifa.gov.it/-/procedura-di-applicazione-managed-entry-agreement-loargys>

Si allega alla presente il PDF relativo all'accordo MEA di cui sopra. Si ricorda che le informazioni contenute nell'allegato sono estremamente confidenziali: la divulgazione è riservata ai soli utenti dei Registri (medici e farmacisti).

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**

Alla società Exprivia, si chiede di inserire il medicinale 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 tale nuovo farmaco esclusivo.

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

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

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: Determinazione AIFA n. 174/2025 in merito alla riclassificazione del medicinale per uso umano Loargys (pegzilarginasi). Centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione.

L'Agencia Italiana del Farmaco (AIFA) con Determinazione n. 174/2025, pubblicata in Gazzetta Ufficiale n. 31 del 07.02.2025, che si allega, ha disposto la riclassificazione del medicinale per uso umano Loargys (pegzilarginasi) per l'indicazione terapeutica:

- *indicato per il trattamento del deficit di arginasi 1 (ARG1-D), noto anche come iperargininemia, in adulti, adolescenti e bambini a partire dai 2 anni di età.*

Tale medicinale è:

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**

- classificato ai fini della rimborsabilità H;
- soggetto a prescrizione medica limitativa, da rinnovare volta per volta, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti dei centri regionali per le malattie rare (RNRL);
- sottoposto a monitoraggio web-based dei registri AIFA, con attribuzione del requisito dell'innovazione terapeutica condizionata, in relazione all'indicazione terapeutica negoziata, da cui consegue l'inserimento nei prontuari terapeutici regionali nei termini previsti dalla normativa vigente (art. 10, comma 2, del decreto-legge n. 158/2012, convertito, con modificazioni, nella legge n. 189/2012).

Ai sensi di quanto stabilito dalla suddetta determinazione AIFA, la rimborsabilità in regime SSN del medicinale in oggetto per le indicazioni di cui sopra è prevista nel rispetto delle condizioni di cui all'art.3...*“Ai fini della prescrizione e della dispensazione del medicinale, i medici ed i farmacisti afferenti ai centri utilizzatori specificatamente individuati dalle Regioni dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata disponibile a fronte dell'accesso attraverso il sito istituzionale dell'AIFA, all'indirizzo web <https://servizionline.aifa.gov.it/>...I medici ed i farmacisti abilitati all'accesso al registro di monitoraggio AIFA dovranno effettuare la prescrizione e dispensazione del medicinale in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'AIFA: <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1...>”.*

Ai sensi di quanto previsto dall'art. 10 del D.L. 158/2012 convertito nella Legge 8 novembre 2012, n 189, i nuovi farmaci per i quali la Commissione consultiva tecnico-scientifica dell'AIFA, abbia stabilito il requisito della innovatività terapeutica, *“...devono essere resi immediatamente disponibili agli assistiti, anche senza il formale inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri regionali...”*

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.

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 del ciclo dell'urea e iperammoniemi ereditarie, cui afferisce l'iperargininemia codificata con codice di esenzione RCG050.

Pertanto, si riporta in **Tab.1**, allegata alla presente, l'elenco dei Centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione del medicinale Loargys (pegzilarginasi) per l'indicazione rimborsata 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 Accredimenti della Regione Puglia sul Sistema Informativo Regionale Edotto, che costituisce la base informativa di riferimento.

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

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 del deficit di arginasi 1 (ARG1-D), noto anche come iperargininemia**, si devono attenere scrupolosamente ai Centri di cui alla tab.1, verificando puntualmente che ogni specialista sia incardinato nelle U.O./servizi riconosciuti.

Al fine di garantire la disponibilità dei trattamenti ai pazienti le prescrizioni del medicinale in questione devono obbligatoriamente essere effettuate solo ed esclusivamente in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale Istituzionale dell'AIFA al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-loargys>

Le prescrizioni del medicinale in oggetto per l'indicazione di cui sopra devono essere obbligatoriamente effettuate mediante la compilazione sulla Piattaforma dei Registri web-based AIFA. Le suddette prescrizioni, dovranno altresì essere registrate sul sistema informativo regionale Edotto mediante l'utilizzo della funzionalità "prescrizione on line".

In virtù di quanto previsto dalla RCP del farmaco Loargys (pegzilarginasi) "*...indicato per l'infusione o l'iniezione sottocutanea e deve essere somministrato da un operatore sanitario*", si ritiene opportuno che la dispensazione 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 "*Se del caso, la somministrazione sottocutanea a domicilio da parte del paziente o di chi lo assiste può essere presa in considerazione dopo almeno 8 settimane di trattamento, dopo che il rischio di reazioni di ipersensibilità è stato valutato come basso ed è stata stabilita una dose di mantenimento stabile (vedere paragrafo 4.4).Prima dell'autosomministrazione, il paziente o chi lo assiste deve aver ricevuto adeguate istruzioni*" si ritiene che, nei casi in cui il medico, attesti tale possibilità, sarà possibile effettuare la distribuzione diretta tramite i Servizi Farmaceutici Territoriali delle ASL per la somministrazione a domicilio del paziente.

La stessa AIFA informa che dal 08/02/2025 è disponibile, sulla piattaforma web dei Registri, il MEA relativo al Registro LOARGYS.

A tal riguardo si riporta il link del comunicato pubblicato sul portale istituzionale AIFA:

<https://www.aifa.gov.it/-/procedura-di-applicazione-managed-entry-agreement-loargys>

Si allega alla presente il PDF relativo all'accordo MEA di cui sopra. Si ricorda che le informazioni contenute nell'allegato sono estremamente confidenziali: la divulgazione è riservata ai soli utenti dei Registri (medici e farmacisti).

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**

Alla società Exprivia, si chiede di inserire il medicinale 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 tale nuovo farmaco esclusivo.

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
29.04.2025 15:25:31
GMT+02:00

Il Responsabile E.Q.

"Registri AIFA e Centri Prescrittori"

Dott. Francesco Brunetti



Francesco
Brunetti
29.04.2025
14:31:35
GMT+01:00

Il Dirigente della Sezione

Dott. Paolo Stella



Paolo Stella
05.05.2025
18:09:57
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	Unità Operative	Codice EDOTTO
AOU Cons. Policlinico-Giovanni XXIII Bari	Malattie Metaboliche	968922

L'Istruttore

Dott. Giuseppe Marco De Novellis



Giuseppe Marco
De Novellis
29.04.2025
15:25:31
GMT+02:00

Il Responsabile E.Q.

"Registri AIFA e Centri Prescrittori"

Dott. Francesco Brunetti



Francesco
Brunetti
29.04.2025
14:32:06
GMT+01:00

Il Dirigente della Sezione

Dott. Paolo Stella



Paolo Stella
05.05.2025
18:10:23
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

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 29 gennaio 2025

Riclassificazione del medicinale per uso umano «Loargys», ai sensi dell'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537. (Determina n. 174/2025). (25A00803)

(GU n.31 del 7-2-2025)

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 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 attivita' sportive e della lotta contro il doping»;

Visto l'art. 85, comma 20, della legge 23 dicembre 2000, n. 388,

relativo alla riduzione dei ticket e a disposizioni in materia di spesa farmaceutica;

Visto l'art. 48, comma 33-ter del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326, in materia di specialita' medicinali soggette a rimborsabilita' condizionata nell'ambito dei registri di monitoraggio AIFA;

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. 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»;

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. 572/2024 dell'11 ottobre 2024, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 247 del 21 ottobre 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 pegzilarginase, "Loargys"»;

Vista la domanda presentata in data 21 dicembre 2023 con la quale la societa' Immedica Pharma AB ha chiesto la riclassificazione, ai fini della rimborsabilita', del medicinale «Loargys» (pegzilarginasi);

Visto i pareri resi dalla Commissione scientifica ed economica nella seduta del 10-14 giugno 2024 e del 7-11 ottobre 2024;

Vista la delibera n. 66 del 10 dicembre 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 LOARGYS (pegzilarginasi) nelle confezioni sotto indicate e' classificato come segue.

Indicazioni terapeutiche oggetto della negoziazione:

«Loargys» e' indicato per il trattamento del deficit di arginasi 1 (ARG1-D), noto anche come iperargininemia, in adulti, adolescenti e bambini a partire dai 2 anni di eta'.

Confezione: «5 mg/ml soluzione iniettabile o per infusione» uso endovenoso o sottocutaneo, flaconcino (in vetro) 0,4 ml - 1 flaconcino - A.I.C. n. 050980010/E (in base 10).

Classe di rimborsabilita': H.

Prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 5.434,00.

Prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 8.968,27.

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.

Capping da applicarsi tramite registro di monitoraggio, come da condizioni negoziali.

Attribuzione del requisito dell'innovazione terapeutica condizionata, in relazione all'indicazione terapeutica negoziata, da cui consegue:

L'applicazione delle riduzioni temporanee di legge di cui alle determinazioni AIFA del 3 luglio 2006 e del 27 settembre 2006;

l'inserimento nei prontuari terapeutici regionali nei termini previsti dalla normativa vigente (art. 10, comma 2, decreto-legge n. 158/2012, convertito con modificazioni nella legge n. 189/2012);

l'inserimento negli elenchi dei farmaci innovativi ai sensi dell'art. 1, commi 1 e 2, dell'accordo sottoscritto in data 18 novembre 2010 (rep. atti n. 197/CSR).

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.

I costi della scheda di arruolamento e della scheda di follow-up sono a carico della societa'. La gestione dei pazienti in trattamento con il medicinale in oggetto sottoposto a registro di monitoraggio garantisce la prosecuzione del trattamento nelle modalita' definite nella scheda del registro, fino alla chiusura del trattamento.

Validita' del contratto: ventiquattro mesi.

Art. 2

Condizioni e modalita' di impiego

E' istituito un registro dedicato al monitoraggio dell'uso del medicinale «Loargys», a base di pegzilarginasi per l'indicazione ammessa alla rimborsabilita':

«"Loargys" e' indicato per il trattamento del deficit di arginasi 1 (ARG1-D), noto anche come iperargininemia, in adulti, adolescenti e bambini a partire dai 2 anni di eta'».

Ai fini della prescrizione e della dispensazione del medicinale, i medici ed i farmacisti afferenti ai centri utilizzatori specificatamente individuati dalle regioni dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata disponibile a fronte dell'accesso attraverso il sito istituzionale dell'AIFA, all'indirizzo web <https://registri.aifa.gov.it>

I medici ed i farmacisti abilitati all'accesso al registro di monitoraggio AIFA dovranno effettuare la prescrizione e dispensazione del medicinale in accordo ai criteri di eleggibilita' e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'AIFA: <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1>

In caso di temporaneo impedimento dell'accesso ai sistemi informativi, i medici ed i farmacisti abilitati dovranno garantire i

trattamenti a partire dalla data di entrata in vigore della presente determina. Successivamente alla disponibilita' delle funzionalita' informatiche, i medici ed i farmacisti dovranno comunque inserire i dati dei trattamenti effettuati nella suddetta piattaforma web.

Art. 3

Classificazione ai fini della fornitura

La classificazione ai fini della fornitura del medicinale «Loargys» (pegzilarginasi) e' la seguente: medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, da rinnovare volta per volta, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti dei centri regionali per le malattie rare (RNRL).

Art. 4

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, 29 gennaio 2025

Il Presidente: Nistico'



Registro LOARGYS (pegzilarginasi)

Deficit di arginasi 1 (ARG1-D) – Procedura 18671

Ufficio Registri di Monitoraggio

08/02/2025

Legenda

Eleggibilità e Dati Clinici, **EDC**

Richiesta Farmaco, **RF**

Dispensazione Farmaco, **DF**

Rivalutazione, **RIV**

Fine Trattamento, **FT**

Gravidanza, **G**

Segnalazione di sospetta reazione avverso, **ADR** Managed Entry Agreement, **MEA**

Standard Monitoring Registry, **SMR**

Payment by Result, **PbR**

Risk Sharing, **RS**

Cost Sharing, **CS**

Success Fee, **SF**

Piano terapeutico, **PT**

Inizio terapia viene considerato la data DF1

Caratteristiche del Registro Loargys

Indicazioni terapeutiche sottoposte a monitoraggio AIFA

Indicazione autorizzata, rimborsata SSN e monitorata: Loargys è indicato per il trattamento del deficit di arginasi 1 (ARG1-D), noto anche come iperargininemia, in adulti, adolescenti e bambini a partire dai 2 anni di età.

Inizio monitoraggio

1) 08/02/2025

Validità MEA

1) 08/02/2025

MEA

Capping per l'indicazione monitorata: sono rimborsate al 100% tutte le confezioni erogate successivamente al raggiungimento di **408 mg**, nell'arco di ciascun anno di trattamento, per ogni paziente inserito a Registro (408 mg/paziente/anno).

Caratteristiche del Registro Loargys

Durata di una RF (gg)

28

RIV obbligatorie

Ogni 3 RF

Durata massimo del trattamento

non prevista

Regole applicazione MEA

Senza FT. Ogni DF confermata sarà sottoposta alla verifica automatica del rispetto delle regole applicative

Dettagli Applicazione Capping

Controlli	
Confezioni a rimborso	<i>Successive a 204 flaconi</i>
Tempo (gg)	<i>12 mesi dalla DF1</i>
Mg raggiunti	<i>408 mg</i>

- Vengono rimborsate dall'Azienda Farmaceutica tutte le confezioni erogate a partire dalla confezione successiva a quella che permette il raggiungimento di 408 mg con data di dispensazione entro i 12 mesi dalla data di inizio trattamento (data DF1), per ogni paziente inserito a Registro. Per i pazienti che risultano già in trattamento al momento del rilascio online del registro la data di inizio trattamento corrisponde alla data della prima dispensazione inserita a registro.
- Il rimborso è pari al 100% di ogni confezione erogata.
- L'algoritmo si applica in automatico su ogni DF confermata dall'utente farmacista.