



Servizio Politiche del Farmaco e  
dell'Emergenza/Urgenza

Prot. n. AOO/081/ 608 del

**5 FEB. 2018**

**Alla cortese attenzione:**  
**Direttori Generali e Sanitari**  
**delle Aziende Sanitarie Locali**  
**delle Aziende Ospedaliere Universitarie**  
**(e per il loro tramite ai**  
**direttori di Farmacia Ospedaliera e Territoriale**  
**U.O. e Distretti interessati)**

**Rappr. Legali degli IRCCS ed Enti Ecclesiastici**  
**(e per il loro tramite ai**  
**direttori di Farmacia Ospedaliera**  
**U.O. interessate)**

**Exprivia Helthcare It S.r.l.**

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

**Loro Sedi**

**Oggetto: Determinazione AIFA n. 2005/2017 in merito alla specialità  
medicinale per uso umano Kanuma (Sebelipase alfa). Centri prescrittori  
autorizzati dalla Regione alla diagnosi e prescrizione.**

L'Agenzia Italiana del Farmaco AIFA con Determinazione n. 2005 del 06  
dicembre 2017, pubblicata in Gazzetta Ufficiale n. 298 del 22.12.2017, che si  
allega, ha determinato il regime di rimborsabilità e prezzo della specialità  
medicinale Kanuma (Sebelipase alfa).

Tale specialità è:

- classificata ai fini della rimborsabilità H;
- indicata per la terapia sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti di  
tutte le età affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL);

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

**Servizio Politiche del Farmaco ed Emergenza / Urgenza**

Via Gentile, 52 - 70126 Bari - Tel: 080 5404951 - Fax: 080 5409521

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



- ai fini della fornitura, medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, utilizzabile esclusivamente in ambiente ospedaliero o in struttura ad esso assimilabile (OSP);
- **sottoposta a monitoraggio web based dei registri AIFA per la seguente indicazione:** *“Indicazione terapeutica rimborsata dal SSN (decisione CTS): Kanuma è indicato per la terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL) ad esordio precoce (entro il primo anno di vita) e a rapida progressione.”*

La Giunta regionale, con provvedimento n. 1491/2017 “Aggiornamento della Rete dei Presidi della Rete Nazionale (PRN) e Nodi della Rete Regionale Pugliese (RERP) accreditati per le malattie rare” ha approvato i centri preposti al trattamento della patologia in oggetto con codice di esenzione RFG180.

Con D.G.R. n. 984/2016 e n. 1706/2016 è stata rispettivamente istituita e nominata la Commissione Tecnica Regionale Farmaci (CTRF), a cui la Giunta Regionale ha delegato una serie di compiti quali la *“... definizione di criteri per l’individuazione dei Centri/specialisti preposti alla eleggibilità dei pazienti e alla prescrizione di farmaci con PT, note AIFA e i farmaci sottoposti ai Registri di monitoraggio AIFA, con il coinvolgimento di medici specialisti componenti delle reti e di altri individuati dalle società scientifiche ...”* e l’ *“... aggiornamento del PTR con l’identificazione di farmaci essenziali per le esigenze cliniche dell’assistenza farmaceutica nell’ambito delle strutture Ospedaliere/Servizi ed ambulatori afferenti alle ASL, comprese le strutture convenzionate con il SSR e per le esigenze della continuità assistenziale ospedale-territorio ...”*.

Preso atto che, a fronte della riunione della CTRF del 30/01/2018, è stato valutato positivamente l’inserimento in PTR del farmaco in oggetto e che sono stati definiti i criteri per l’individuazione dei centri preposti alla prescrizione dello stesso, si riportano gli stessi nell’elenco di seguito:

**Centri preposti alla prescrizione della specialità medicinale Kanuma per la terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL) ad esordio precoce (entro il primo anno di vita) e a rapida progressione.”**



| Centri Ospedalieri     | Unità Operative      | Codice EDOTTO |
|------------------------|----------------------|---------------|
| AO Giovanni XXIII Bari | Malattie Metaboliche | 968922        |

Il Direttore Sanitario del P.O., per quanto concerne l'abilitazione degli specialisti preposti alla prescrizione della specialità in oggetto, si deve attenere scrupolosamente al Centro sopra individuato, verificando puntualmente che ogni specialista sia incardinato nelle U.O. riconosciuta.

Al fine di garantire la disponibilità del trattamento ai piccoli pazienti, le prescrizioni 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 :

<http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/registri-farmaci-sottoposti-monitoraggio>.

Si invitano gli operatori sanitari preposti alla eleggibilità dei pazienti in piattaforma web based, a porre attenzione alle date di inizio, rivalutazione dei pazienti e alla chiusura dei trattamenti.

Alla luce delle indicazioni fornite dall'AIFA, per gli specialisti sarà possibile anticipare la registrazione della scheda anagrafica dei pazienti sulla piattaforma web. e che una volta compilata, il sistema genererà un codice identificativo univoco con il quale sarà possibile rintracciare il paziente, al momento dell'attivazione del registro web per l'inserimento dei dati raccolti in modalità cartacea, risultando in tal modo semplificata.

La dispensazione della specialità medicinale in oggetto, anche al fine di una attenta e scrupolosa verifica sull'appropriatezza prescrittiva, deve essere effettuata da parte della Farmacia Ospedaliera insistente presso il Centro preposto alla eleggibilità dei pazienti, dopo attenta verifica da parte dei farmacisti della corretta compilazione delle schede di eleggibilità del paziente opportunamente predisposte dall'AIFA.



**REGIONE  
PUGLIA**

**DIPARTIMENTO PROMOZIONE  
DELLA SALUTE, DEL BENESSERE  
E DELLO SPORT PER TUTTI**

**SEZIONE RISORSE STRUMENTALI E  
TECNOLOGICHE**

Servizio Politiche del Farmaco e  
dell'Emergenza/Urgenza

Al soggetto Aggregatore Regionale Innovapuglia, si raccomanda di attivare con urgenza ed in tempi brevi le procedure amministrative necessarie all'acquisto su scala regionale di tale nuovo farmaco esclusivo innovativo, di concerto con l'Azienda Capofila ASL BA.

Cordialmente.

AP/

Il Funzionario Ser. Politiche del Farmaco  
dott. *Francesco Colasuonno*

Il Dirigente di Sezione  
ing. *Vito Bavaro*

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

**Servizio Politiche del Farmaco ed Emergenza / Urgenza**

Via Gentile, 52 - 70126 Bari - Tel: 080 5404951 - Fax: 080 5409521

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

Sconto obbligatorio su ex factory alle strutture pubbliche ivi comprese le strutture di natura privato-convenzionale con il Servizio sanitario nazionale, come da condizioni negoziali.

Eliminazione PbR per mielofibrosi, come da condizioni negoziali.

Validità del contratto: 24 mesi.

Ai fini delle prescrizioni a carico del Servizio sanitario nazionale, i centri utilizzatori specificatamente individuati dalle Regioni, dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili e la scheda di *follow-up*, applicando le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito dell'Agenzia, piattaforma web - all'indirizzo <https://www.agenziafarmaco.gov.it/registri/> che costituiscono parte integrante della presente determinazione.

Nelle more della piena attuazione del registro di monitoraggio *web-based*, onde garantire la disponibilità del trattamento ai pazienti le prescrizioni dovranno essere effettuate in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'Agenzia:

<http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/registri-farmaci-sottoposti-monitoraggio>

I dati inerenti ai trattamenti effettuati a partire dalla data di entrata in vigore della presente determinazione, tramite la modalità temporanea suindicata, dovranno essere successivamente riportati nella piattaforma web, secondo le modalità che saranno indicate nel sito: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/registri-farmaci-sottoposti-monitoraggio>

## Art. 2.

### *Classificazione ai fini della fornitura*

La classificazione ai fini della fornitura del medicinale «Jakavi» è la seguente: medicinali soggetti a prescrizione medica limitativa, da rinnovare volta per volta, vendibili al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti: ematologo, internista, geriatra (RNRL).

## Art. 3.

### *Disposizioni finali*

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

Roma, 6 dicembre 2017

*Il direttore generale:* MELAZZINI

17A08549

DETERMINA 6 dicembre 2017.

**Regime di rimborsabilità e prezzo del medicinale per uso umano «Kanuma».** (Determina n. 2005/2017).

*Per il regime di rimborsabilità e prezzo di vendita della specialità medicinale «Kanuma» - autorizzata con procedura centralizzata europea dalla Commissione europea con la decisione del 28 agosto 2015 ed inserita nel registro comunitario dei medicinali con i numeri:*

*EU/1/15/1033/001 - 2 mg/ml concentrato per soluzione per infusione uso endovenoso flaconcino (vetro) 10 ml 1 flaconcino.*

*Titolare A.I.C.: Alexion Europe S.a.s.*

## IL DIRETTORE GENERALE

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

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;

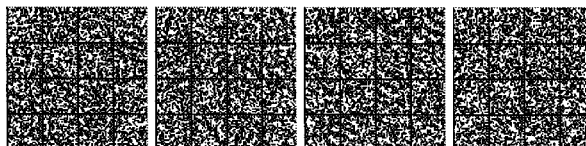
Visto il decreto 20 settembre 2004 n. 245 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze: «Regolamento recante norme sull'organizzazione ed il funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco, a norma dell'art. 48, comma 13, del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326», così come modificato dal decreto 29 marzo 2012 n. 53 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri per la pubblica amministrazione e la semplificazione e dell'economia e delle finanze: «Modifica al regolamento e funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco (AIFA), in attuazione dell'art. 17, comma 10, del decreto-legge 6 luglio 2011, n. 98, convertito, con modificazioni, dalla legge 15 luglio 2011, n. 111»;

Visti il regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell'ordinamento del personale e la nuova dotazione organica, definitivamente adottati dal Consiglio di amministrazione dell'AIFA, rispettivamente, con deliberazione 8 aprile 2016, n. 12, e con deliberazione 3 febbraio 2016, n. 6, approvate ai sensi dell'art. 22 del decreto 20 settembre 2004, n. 245, del Ministro della salute di concerto con il Ministro della funzione pubblica e il Ministro dell'economia e delle finanze, della cui pubblicazione sul proprio sito istituzionale è stato dato avviso nella *Gazzetta Ufficiale* della Repubblica italiana, Serie generale, n. 140 del 17 giugno 2016;

Visto il decreto legislativo 30 marzo 2001, n. 165, recante «Norme generali sull'ordinamento del lavoro alle dipendenze delle amministrazioni pubbliche» e s.m.i.;

Vista la legge 15 luglio 2002, n. 145, recante «Disposizioni per il riordino della dirigenza statale e per favorire lo scambio di esperienze e l'interazione tra pubblico e privato»;

Visto il decreto del Ministro della salute del 17 novembre 2016, vistato ai sensi dell'art. 5, comma 2, del decreto legislativo n. 123/2011 dall'Ufficio centrale del bilancio presso il Ministero della salute in data 18 novembre



2016, al n. 1347, con cui è stato nominato direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco il prof. Mario Melazzini;

Visto il decreto del Ministro della salute del 31 gennaio 2017, vistato ai sensi dell'art. 5, comma 2, del decreto legislativo n. 123/2011 dall'Ufficio centrale del bilancio presso il Ministero della salute in data 6 febbraio 2017, al n. 141, con cui il prof. Mario Melazzini è stato confermato direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'art. 2, comma 160, del decreto-legge 3 ottobre 2006, n. 262, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2006, n. 286;

Vista la legge 24 dicembre 1993, n. 537, concernente «Interventi correttivi di finanza pubblica» con particolare riferimento all'art. 8;

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

Visto l'art. 1, comma 40, della legge 23 dicembre 1996, n. 662, recante «Misure di razionalizzazione della finanza pubblica», che individua i margini della distribuzione per aziende farmaceutiche, grossisti e farmacisti;

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

Visto l'art. 48, comma 33, legge 24 novembre 2003, n. 326, che dispone la negoziazione del prezzo per i prodotti rimborsati dal Servizio sanitario nazionale tra agenzia e titolari di autorizzazioni;

Visto il decreto legislativo 24 aprile 2006, n. 219, pubblicato nella *Gazzetta Ufficiale* della Repubblica italiana n. 142 del 21 giugno 2006, concernente l'attuazione della direttiva 2001/83/CE (e successive direttive di modifica) relativa ad un codice comunitario concernenti i medicinali per uso umano nonché della direttiva 2003/94/CE;

Vista la delibera CIPE del 1° febbraio 2001;

Visto il regolamento n. 726/2004/CE;

Vista la determinazione 29 ottobre 2004 «Note AIFA 2004 (Revisione delle note CUF)», pubblicata nel supplemento ordinario alla *Gazzetta Ufficiale* n. 259 del 4 novembre 2004 e successive modificazioni;

Vista la determinazione AIFA del 3 luglio 2006 pubblicata nella *Gazzetta Ufficiale*, Serie generale n. 156 del 7 luglio 2006;

Vista la determinazione AIFA del 27 settembre 2006 pubblicata nella *Gazzetta Ufficiale*, Serie generale n. 227, del 29 settembre 2006 concernente «Manovra per il Governo della spesa farmaceutica convenzionata e non convenzionata»;

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 specialità medicinali soggette a rimborsabilità condizionata nell'ambito dei registri di monitoraggio AIFA;

Vista la domanda con la quale la ditta Alexion Europe S.a.s. ha chiesto la classificazione, ai fini della rimborsabilità;

Visto il parere della Commissione consultiva tecnico-scientifica nella seduta del 10 aprile 2017;

Visto il parere del Comitato prezzi e rimborso nella seduta del 27 settembre 2017;

Vista la deliberazione n. 26 del 19 ottobre 2017 del Consiglio di amministrazione dell'AIFA adottata su proposta del direttore generale;

Considerato che per la corretta gestione delle varie fasi della distribuzione, alla specialità medicinale debba venir attribuito un numero di identificazione nazionale;

Determina:

Art. 1.

*Descrizione del medicinale e attribuzione numero A.I.C.*

Alla specialità medicinale KANUMA nelle confezioni indicate vengono attribuiti i seguenti numeri di identificazione nazionale:

confezione:

2 mg/ml concentrato per soluzione per infusione uso endovenoso flaconcino (vetro) 10 ml 1 flaconcino - A.I.C. n. 044493017/E (in base 10) 1BFU6T (in base 32).

Indicazioni terapeutiche: «Kanuma» è indicato per la terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti di tutte le età affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL).

Art. 2.

*Classificazione ai fini della rimborsabilità*

La specialità medicinale «Kanuma» è classificata come segue:

confezione:

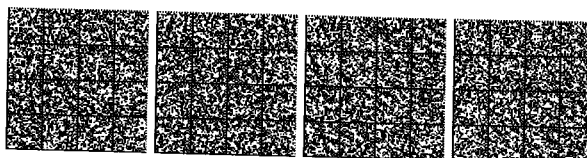
2 mg/ml concentrato per soluzione per infusione uso endovenoso flaconcino (vetro) 10 ml 1 flaconcino; A.I.C. n. 044493017/E (in base 10) 1BFU6T (in base 32); classe di rimborsabilità: «H»; prezzo ex factory (IVA esclusa): € 6.567,10; prezzo al pubblico (IVA inclusa): € 10.838,34.

Sconto obbligatorio sul prezzo ex factory alle strutture pubbliche ivi comprese le strutture di natura privato-convenzionata come da condizioni negoziali.

Ai fini delle prescrizioni a carico del SSN, i centri utilizzatori specificatamente individuati dalle Regioni, dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili e la scheda di *follow-up*, applicando le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito dell'Agenzia, piattaforma web - all'indirizzo <https://www.agenziafarmaco.gov.it/registri/> che costituiscono parte integrante della presente determinazione

Nelle more della piena attuazione del registro di monitoraggio *web-based*, onde garantire la disponibilità del trattamento ai pazienti le prescrizioni dovranno essere effettuate in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'Agenzia:

<http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/registri-farmaci-sottoposti-monitoraggio>



I dati inerenti ai trattamenti effettuati a partire dalla data di entrata in vigore della presente determinazione, tramite la modalità temporanea suindicata, dovranno essere successivamente riportati nella piattaforma web, secondo le modalità che saranno indicate nel sito: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/registri-farmaci-sottoposti-monitoraggio>

Validità del contratto: 24 mesi.

#### Art. 3.

##### *Classificazione ai fini della fornitura*

La classificazione ai fini della fornitura del medicinale «Kanuma» è la seguente: medicinali soggetti a prescrizione medica limitativa, utilizzabili esclusivamente in ambiente ospedaliero o in struttura ad esso assimilabile (OSP).

#### Art. 4.

##### *Disposizioni finali*

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

Roma, 6 dicembre 2017

*Il direttore generale:* MELAZZINI

17A08551

DELIBERA 6 dicembre 2017.

**Regime di rimborsabilità e prezzo a seguito di nuove indicazioni terapeutiche del medicinale per uso umano «Kyprolis».** (Determina n. 2003/2017).

#### IL DIRETTORE GENERALE

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

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;

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: «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», così come modificato dal decreto 29 marzo 2012, n. 53 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri per la pubblica amministrazione e la semplificazione e dell'economia e delle finanze: «Modifica al

regolamento e funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco (AIFA), in attuazione dell'art. 17, comma 10, del decreto-legge 6 luglio 2011, n. 98, convertito, con modificazioni, dalla legge 15 luglio 2011, n. 111»;

Visti il regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell'ordinamento del personale e la nuova dotazione organica, definitivamente adottati dal Consiglio di amministrazione dell'AIFA, rispettivamente, con deliberazione 8 aprile 2016, n. 12, e con deliberazione 3 febbraio 2016, n. 6, approvate ai sensi dell'art. 22 del decreto 20 settembre 2004, n. 245, del Ministro della salute di concerto con il Ministro della funzione pubblica e il Ministro dell'economia e delle finanze, della cui pubblicazione sul proprio sito istituzionale è stato dato avviso nella *Gazzetta Ufficiale* della Repubblica italiana, Serie generale, n. 140 del 17 giugno 2016;

Visto il decreto legislativo 30 marzo 2001, n. 165, recante «Norme generali sull'ordinamento del lavoro alle dipendenze delle amministrazioni pubbliche» e s.m.i.;

Vista la legge 15 luglio 2002, n. 145, recante «Disposizioni per il riordino della dirigenza statale e per favorire lo scambio di esperienze e l'interazione tra pubblico e privato»;

Visto il decreto del Ministro della salute del 17 novembre 2016, vistato ai sensi dell'art. 5, comma 2, del decreto legislativo n. 123/2011 dall'Ufficio centrale del bilancio presso il Ministero della salute in data 18 novembre 2016, al n. 1347, con cui è stato nominato direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco il prof. Mario Melazzini;

Visto il decreto del Ministro della salute del 31 gennaio 2017, vistato ai sensi dell'art. 5, comma 2, del decreto legislativo n. 123/2011 dall'Ufficio centrale del bilancio presso il Ministero della salute in data 6 febbraio 2017, al n. 141, con cui il prof. Mario Melazzini è stato confermato direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'art. 2, comma 160, del decreto-legge 3 ottobre 2006, n. 262, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2006, n. 286;

Vista la legge 24 dicembre 1993, n. 537, concernente «Interventi correttivi di finanza pubblica» con particolare riferimento all'art. 8;

Visto l'art. 1, comma 40, della legge 23 dicembre 1996, n. 662, recante «Misure di razionalizzazione della finanza pubblica», che individua i margini della distribuzione per aziende farmaceutiche, grossisti e farmacisti;

Visto l'art. 48, comma 33, legge 24 novembre 2003, n. 326, che dispone la negoziazione del prezzo per i prodotti rimborsati dal Servizio sanitario nazionale tra Agenzia e titolari di autorizzazioni;

Visto il decreto legislativo 24 aprile 2006, n. 219, pubblicato nella *Gazzetta Ufficiale* della Repubblica italiana n. 142 del 21 giugno 2006, concernente l'attuazione della direttiva 2001/83/CE (e successive direttive di modifica) relativa ad un codice comunitario concernenti i medicinali per uso umano nonché della direttiva 2003/94/CE;

Vista la delibera del Comitato interministeriale per la programmazione economica del 1° febbraio 2001;

