



**REGIONE
PUGLIA**

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

**SEZIONE RISORSE STRUMENTALI E
TECNOLOGICHE**

Servizio Politiche del Farmaco

Prot. n. AOO/081/ 4580 del **25 SET. 2019**

Alla cortese attenzione:

**Direttori Generali e Sanitari
delle Aziende Sanitarie Locali
delle Aziende Ospedaliero Universitarie**

(e per il loro tramite

- *ai Direttori delle U.O. riferibili ai Centri autorizzati al trattamento dell'ipofosfatemia X-linked (XLH)*
- *ai Direttori dei distretti Socio Sanitari*
- *ai Direttori Sanitari delle Strutture Priv. Accr.*
- *ai Direttori di Farmacia Ospedaliera/Territoriale)*

Rappr. Legali degli IRCCS ed Enti Ecclesiastici

(e per il loro tramite

- *ai Direttori di Farmacia Ospedaliera*
- *ai Direttori delle U.O. riferibili ai Centri autorizzati al trattamento dell' ipofosfatemia X-linked (XLH))*

Exprivia Helthcare It S.r.l

Soggetto Aggregatore Regionale Innovapuglia S.p.A.

Oggetto: Determinazione AIFA n. 1283/2019 in merito alla specialità medicinale per uso umano Crysvida (Burosumab) indicata per il trattamento dell'ipofosfatemia X-linked (XLH). Centri autorizzati alla prescrizione.

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) con Determinazione n. 1283 del 27.08.2019 pubblicata nella GU n. 208 del 05 settembre 2019, che si allega, ha disposto il regime di rimborsabilità e il prezzo della specialità medicinale Crysvida (Burosumab) per la seguente indicazione terapeutica:

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



- *trattamento dell'ipofosfatemia X-linked (XLH) con evidenza radiografica di malattia ossea, nei bambini di età pari o superiore ad un anno e negli adolescenti con sistema scheletrico in crescita.*

Tale specialità medicinale è:

- classificata ai fini della rimborsabilità H;
- ai fini della fornitura, soggetta a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione da parte di centri ospedalieri o di specialisti esperti nella gestione dei pazienti con malattie metaboliche dell'osso (RCP 4.2) dei centri di riferimento autorizzati alla diagnosi e al trattamento dell'ipofosfatemia X-linked (XLH) individuati dalle regioni e province autonome(RRL);
- soggetta al riconoscimento del requisito di innovatività terapeutica condizionata di cui alla determina AIFA n.1535/2017 e a quanto disposto dall'art.10 comma 2, D.L. n.158/2012 convertito in L. n.189/2012.

La Giunta Regionale, con provvedimento n. 329/2018 "*DGR n. 1491/2017 DPCM 12 gennaio 2017 Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza di cui all'art. 1, comma 7, del d.lgs. n. 502/92 Aggiornamento della Rete dei Presidi della Rete Nazionale (PRN) e Nodi della Rete Regionale Pugliese (RERP) accreditati per le malattie rare. Modifiche e integrazioni*" ha approvato i centri preposti alla diagnosi e cura dell'ipofosfatemia X-linked (XLH) con evidenza radiografica di malattia ossea codificata con codice di esenzione RC0170.

Pertanto, si riporta di seguito, in **Tab.1**, l'elenco dei centri preposti al trattamento della patologia e alla prescrizione della specialità medicinale in oggetto.

Centri preposti al trattamento dell' dell'ipofosfatemia X-linked (XLH) e alla prescrizione della specialità medicinale Crysvida (Burosumab)



Tab. 1

Centri Osp. ASL/AOU	Centro riferimento DGR 329/2018	U.O/Servizio (Spec. esperto nella gestione dei pazienti con malattie metaboliche dell'osso)	Codice EDOTTO
P.O. Cons. Policlinico	Nefrologia Universitaria	Nefrologia Univ.	966237
P.O Giovanni XXIII- Bari	Malattie Metaboliche Nefrologia Pediatrica Pediatría Generale e Specialistica Trambusti	Malattie Metaboliche Nefrologia Pediatrica Pediatría	968922 968921 098158
P.O. Perrino Brindisi	Pediatría	Pediatría	967542
P.O. Casa Sollievo della Sofferenza S.G. Rotondo	Pediatría	Pediatría	969320

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.

I Direttori Sanitari dei P.O., per quanto concerne l'abilitazione degli specialisti preposti alla prescrizione della specialità medicinale in oggetto, si devono attenere scrupolosamente ai Centri sopra individuati, verificando puntualmente che ogni specialista sia incardinato nelle U.O. riconosciute.

Al fine di garantire la disponibilità del trattamento ai 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 al seguente link:

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



**REGIONE
PUGLIA**

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

**SEZIONE RISORSE STRUMENTALI E
TECNOLOGICHE**

Servizio Politiche del Farmaco

(<https://www.aifa.gov.it/web/guest/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-crysvita>).

Le prescrizioni della specialità medicinale in oggetto devono essere obbligatoriamente registrate nel Nuovo Sistema Informativo EDOTTO mediante la funzionalità "*prescrizione on line*" per consentire le successive fasi di monitoraggio e erogazione, previa compilazione della scheda di eleggibilità AIFA.

Il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nella gestione dei pazienti con malattie metaboliche dell'osso (RCP 4.2).

La dispensazione dovrà essere effettuata da parte dei Servizi Farmaceutici Territoriali delle ASL, dopo attenta verifica della corretta compilazione delle schede di eleggibilità del paziente opportunamente predisposte dall'AIFA.

Alla società Exprivia, si chiede di inserire il medicinale in oggetto nel PTR Edotto.

Al soggetto Aggregatore Regionale Innovapuglia ed all'Azienda Capofila ASL BA, ognuno per quanto di propria competenza e responsabilità, si raccomanda di procedere con urgenza ed in tempi brevi al fine di consentire l'espletamento delle procedure amministrative necessarie all'acquisto su scala regionale di tale nuovo farmaco esclusivo.

Si invitano le Aziende Sanitarie Locali territorialmente competenti per territorio a vigilare sull'operato delle strutture private accreditate, ivi inclusi gli Enti Ecclesiastici e degli IRCCS privati.

Il responsabile del presente procedimento è il dott. F. Colasuonno del Servizio Politiche del Farmaco regionale, che potrà essere contattato per

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



**REGIONE
PUGLIA**

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

**SEZIONE RISORSE STRUMENTALI E
TECNOLOGICHE**

Servizio Politiche del Farmaco

eventuali ulteriori informazioni in merito all'indirizzo mail
f.colasuonno@regione.puglia.it.

Cordialmente.

AP/

Il Responsabile P.O.

Registri di Monitoraggio AIFA e Centri Prescrittori

dott. Francesco Colasuonno

Il Dirigente di Servizio

dott. Paolo Stella

Il Dirigente di Sezione

ing. Vito Bavaro

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

del riassunto delle caratteristiche del prodotto del medicinale di riferimento che si riferiscono a indicazioni o a dosaggi ancora coperti da brevetto al momento dell'immissione in commercio del medicinale.

Art. 4.

Disposizioni finali

La presente determina ha effetto dal giorno successivo a quello della sua pubblicazione nella *Gazzetta Ufficiale* della Repubblica italiana e sarà notificata alla società titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio del medicinale.

Roma, 27 agosto 2019

Il direttore generale: LI BASSI

19A05510

DETERMINA 27 agosto 2019.

Regime di rimborsabilità e prezzo del medicinale per uso umano «Crysvita». (Determina n. 1283/2019).

Per il regime di rimborsabilità e prezzo di vendita della specialità medicinale «Crysvita» (burosumab) — autorizzata con procedura centralizzata europea dalla Commissione europea con la decisione del 17 gennaio 2019 ed inserita nel registro comunitario dei medicinali con i numeri: EU/1/17/1262/001-003.

Titolare A.I.C.: «Kyowa Kirin Holdings B.V.» - Bloemlaan 2 2132NP Hoofddorp - Paesi Bassi.

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 successive modifiche ed integrazioni;

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 27 settembre 2018, registrato, ai sensi dell'art. 5, comma 2, del decreto legislativo 30 giugno 2011, n. 123, dall'Ufficio centrale del bilancio presso il Ministero della salute in data 4 ottobre 2018, al n. 1011, con cui il dott. Luca Li Bassi è stato nominato direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco e il relativo contratto individuale di lavoro con decorrenza 17 ottobre 2018, data di effettiva assunzione delle funzioni;

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;

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

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 S.S.N. 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 deliberazione CIPE del 1° febbraio 2001, n. 3;

Visto il regolamento n. 726/2004/CE;

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

Vista la determina 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 presentata in data 23 dicembre 2016 con la quale la ditta Kyowa Kirin Limited ha chiesto la classificazione, ai fini della rimborsabilità del medicinale «Crysvita» (burosumab);

Visto il parere espresso dalla Commissione consultiva tecnico-scientifica nella seduta dell'11 luglio 2018;

Visto il parere espresso dal Comitato prezzi e rimborso nella seduta del 23 luglio 2019;

Vista la deliberazione n. 19 del 7 agosto 2019 del Consiglio di amministrazione dell'AIFA adottata su proposta del direttore generale concernente l'approvazione delle specialità medicinali ai fini dell'autorizzazione all'immissione in commercio e rimborsabilità da parte del Servizio sanitario nazionale;

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 n. A.I.C.

Alla specialità medicinale CRYSVITA (burosumab) nelle confezioni indicate vengono attribuiti i seguenti numeri di identificazione nazionale:

confezioni:

10 mg 1 fiala - A.I.C. n. 046127015/E (in base 10);

20 mg 1 fiala - A.I.C. n. 046127027/E (in base 10);

30 mg 1 fiala - A.I.C. n. 046127039/E (in base 10).

Indicazione terapeutica: «Crysvita®» è indicato per il trattamento dell'ipofosfatemia X-linked (XLH) con evidenza radiografica di malattia ossea, nei bambini di età pari o superiore ad un anno e negli adolescenti con sistema scheletrico in crescita.

Art. 2.

Classificazione ai fini della rimborsabilità

La specialità medicinale «Crysvita» (burosumab) è classificata come segue:

confezioni:

10 mg 1 fiala; A.I.C. n. 046127015/E (in base 10); classe di rimborsabilità: «H»; prezzo *ex factory* (IVA esclusa): euro 3.388,00; prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 5.591,56;

20 mg 1 fiala - A.I.C. n. 046127027/E (in base 10); classe di rimborsabilità: «H»; prezzo *ex factory* (IVA esclusa): euro 6.775,00; prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 11.181,46;

30 mg 1 fiala - A.I.C. n. 046127039/E (in base 10); classe di rimborsabilità: «H»; prezzo *ex factory* (IVA esclusa): euro 10.163,00; prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 16.773,02.

Attribuzione del requisito dell'innovazione terapeutica condizionata da cui consegue unicamente:

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

Sconto obbligatorio sul prezzo *ex factory* del 20%, da praticarsi alle strutture sanitarie pubbliche, ivi comprese le strutture sanitarie private accreditate con il Servizio sanitario nazionale, come da condizioni negoziali.

Ai fini delle prescrizioni a carico del S.S.N., 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://servizionline.aifa.gov.it> che costituiscono parte integrante della presente determina.

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:

<https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici>

I dati inerenti ai trattamenti effettuati a partire dalla data di entrata in vigore della presente determina, tramite la modalità temporanea suindicata, dovranno essere successivamente riportati nella piattaforma web, secondo le modalità che saranno indicate nel sito:

<https://www.aifa.gov.it/registri-farmaci-sottoposti-a-monitoraggio>

Validità del contratto: ventiquattro mesi.

Art. 2.

Classificazione ai fini della fornitura

La classificazione ai fini della fornitura del medicinale «Crysvita» (burosumab) è la seguente: medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti - centri di riferimento autorizzati alla diagnosi e al trattamento dell'ipofosfatemia X-linked (XLH) individuati dalle regioni e province autonome (RRL).

Art. 3.

Disposizioni finali

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

Roma, 27 agosto 2019

Il direttore generale: LI BASSI

19A05511

