



L'UOMO È LA MISURA DI TUTTE LE COSE.

2° Comunicato del Comitato Scientifico di AISAC relativo al Vosoritide (farmaco di BioMarin) attualmente in valutazione alla messa in commercio da parte di EMA (European Medicines Agency).

PRESMESSA

Come annunciatovi a Febbraio 2021, attraverso un primo comunicato del Comitato Scientifico di AISAC, nel mese di Dicembre 2020 era stato redatto un documento per richiedere l'inserimento con procedura accelerata del medicinale vosoritide ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n.648 (nota1) nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale per i pazienti con Acondroplasia di età > 5 anni, al fine di ottenere un incremento della loro crescita staturale ed un conseguente miglioramento della loro autonomia funzionale.

Relativamente a tale richiesta AIFA ha evidenziato come l'autorizzazione alla messa in commercio del farmaco sia in dirittura di arrivo e di ritenere quindi di attendere il normale iter di approvazione.

LA SITUAZIONE ATTUALE

Al momento attuale, nel tentativo di anticipare l'utilizzo di vosoritide, rispetto alle date previste di commercializzazione, esiste in Italia la possibilità di ricorrere alla legge 326/2003 che prevede l'accesso ad un Fondo Nazionale presso AIFA (nota 2) per l'impiego di farmaci orfani per il trattamento di malattie rare.

CONSIDERAZIONI AMMINISTRATIVO-BUROCRATICHE

Le richieste di accesso al fondo AIFA possono essere sottomesse dai singoli centri di riferimento su base nominale per singolo paziente.

¹ La Legge 648/1996 consente di erogare un farmaco a carico del Servizio Sanitario Nazionale (SSN), previo parere della Commissione Tecnico-Scientifica (CTS) di AIFA; Quando non esiste un'alternativa terapeutica valida:

1. per medicinali innovativi autorizzati in altri Stati, ma non in Italia
2. per medicinali non ancora autorizzati, ma in corso di sperimentazione clinica
3. per medicinali da impiegare per una indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata

In tutti questi casi è necessaria l'esistenza di studi conclusi, almeno di fase II, che dimostrino un'efficacia adeguata con un profilo di rischio accettabile a supporto dell'indicazione richiesta.

² Il Fondo è costituito dal 50% del contributo che le aziende farmaceutiche versano su base annuale ad AIFA. Tale contributo è corrispondente al 5% delle spese annuali per attività di promozione che le aziende farmaceutiche destinano a tale scopo.

Cercando sulla rete Fondo Nazionale AIFA possono essere acquisite ulteriori informazioni amministrative e burocratiche di cui di seguito si sintetizzano quelle considerate più significative.

Tale richiesta può essere fatta per una durata di 6 mesi, ripetibile per altri 6 (per un totale di 1 anno di trattamento).

Le singole richieste vengono valutate da parte di una Commissione AIFA (che si riunisce il giorno 10 di ogni mese, eccetto il mese di agosto) che ne decide, caso per caso, l'approvazione o il rifiuto.

I limiti oggettivi di questo percorso sono rappresentati da:

- Disponibilità di risorse del fondo stesso.
- Disponibilità delle singole Aziende Ospedaliere e, più in generale, delle singole Regioni, ad anticipare la spesa del trattamento che, qualora autorizzata, verrà solo successivamente rimborsata alla stessa struttura erogante.
- Necessità di individuare un rationale sufficientemente convincente a supporto dell'urgenza di anticipo del trattamento proposto, inclusa la certificazione di mancanza di reale alternativa terapeutica (come da indicazioni di AIFA).

Pertanto, è prevedibile che, nella migliore delle ipotesi, il ricorso alla legge 326 potrebbe riguardare solo un numero estremamente limitato di pazienti per i quali l'attivazione del trattamento rappresenterebbe esclusivamente un anticipo di utilizzo di terapia rispetto a quando il farmaco stesso verrà sperabilmente messo in commercio.

PROPOSTA DI POSSIBILI CRITERI CLINICI PER SUPPORTARE L'ACCETTAZIONE DI RICHIESTA DI UTILIZZO DI VOSORITIDE avvalendosi della 326.

La limitazione oggettiva del numero di pazienti che potrebbero usufruire di questo percorso, suggerirebbe la necessità di individuare dei criteri di scelta condivisi che fungano da riferimento per coloro che avessero la possibilità di attivare questa richiesta.

Segnaliamo sin d'ora che la letteratura non mette a disposizione elementi scientifici solidi a questo riguardo e, pertanto, ogni ipotesi formulata risulta in partenza opinabile e discutibile.

Ciò nonostante AISAC ha riunito i seguenti Centri di Riferimento:

Fondazione IRCCS Cà Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano

Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli IRCCS, Roma

IRCCS Istituto G. Gaslini, Genova

IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano

Ospedale Sant'Anna, ASST Lariana, Como

Ospedale Rummo, Azienda Ospedaliera San Pio, Benevento

per individuare alcuni criteri clinici a cui fare riferimento nell'eventuale identificazione dei pazienti per i quali attivare la richiesta, in un'ottica di equità e di trasparenza.



L'UOMO È LA MISURA DI TUTTE LE COSE.

Si riportano pertanto le seguenti indicazioni condivise dai Centri consultati:

Bambini con acondroplasia di entrambi i sessi e di età superiore ai 5 anni che, al momento della richiesta, presentino:

- uno sviluppo puberale allo stadio II di Tanner
- una statura al di sotto del 50° percentile secondo le curve specifiche di riferimento

L'individuazione di tali criteri segue la logica di ritenere auspicabile il favorire quei bambini/e che, per età e livello di sviluppo puberale, si gioverebbe maggiormente di un anticipo temporale nell'inizio del trattamento farmacologico.

Milano, 28 Maggio 2021

I membri del comitato scientifico di AISAC

MF. Bedeschi, O. Picciolini, Fondazione IRCCS Cà Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano

M. Maghnie, A. Allegri, IRCCS Istituto G. Gaslini, Genova

S. Mora, IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano

G. Scarano, Azienda Ospedaliera San Pio, Benevento

A. Selicorni, Ospedale Sant'Anna, ASST Lariana Como

G. Zampino, Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli IRCCS, Roma