

DECRETO DEL DIRETTORE GENERALE DELL' AREA SANITA' E SOCIALE n. 114 del 14 ottobre 2021

Individuazione dei Centri regionali autorizzati alla prescrizione del farmaco ataluren (Translarna Registered) per le nuove indicazioni terapeutiche nella distrofia muscolare di Duchenne dovuta a mutazione nonsense nel gene della distrofina in pazienti deambulanti di età pari o superiore a due anni.

[Sanità e igiene pubblica]

Note per la trasparenza:

A seguito della determina AIFA n. DG/817 del 7.7.2021, si individuano i Centri regionali autorizzati alla prescrizione del farmaco ataluren (Translarna -Registered) per nuove indicazioni terapeutiche.

Il Direttore generale

VISTA la deliberazione della Giunta Regionale 21.1.2019, n. 36 "Rete regionale delle Commissioni preposte alla valutazione dei farmaci. Rinnovo della Commissione Tecnica Regionale Farmaci per il triennio 2019-2021. Aggiornamento delle funzioni delle Commissioni Terapeutiche Aziendali" laddove attribuisce alla CTRF, tra gli altri, il compito di "supportare l'Area Sanità e Sociale nel rilascio delle autorizzazioni alla prescrizione di farmaci soggetti a Registro AIFA o Piano Terapeutico o nota AIFA e per i quali la normativa preveda una individuazione dei Centri da parte delle Regioni" stabilendo, altresì, che per l'adozione dei provvedimenti i pareri della CTRF siano inoltrati al Direttore Generale dell'Area Sanità e Sociale per il controllo sulla coerenza con le attività di programmazione regionale, nonché per le ricadute economiche ed organizzative degli stessi;

VISTA la D.G.R. 14.5.2019, n. 614 <<Approvazione delle schede di dotazione delle strutture ospedaliere e delle strutture sanitarie di cure intermedie delle Aziende Ulss, dell'Azienda Ospedale-Università di Padova, dell'Azienda Ospedale Universitaria Integrata di Verona, dell'Istituto Oncologico Veneto - IRCCS, della Società partecipata a capitale interamente pubblico "Ospedale Riabilitativo di Alta specializzazione" e degli erogatori ospedalieri privati accreditati. L.r. 48/2018 "Piano Socio Sanitario Regionale 2019-2023". Deliberazione n. 22/CR del 13 marzo 2019>>;

VISTA la D.G.R. n. 763 del 14.5.2015 di recepimento dell'Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano sul documento "Piano nazionale per le malattie rare (PNMR)" e di aggiornamento della rete dei Centri Interregionali di Riferimento dell'area vasta, accreditati per le Malattie Rare;

VISTA la D.G.R. n. 1522 del 25.9.2017 <<Decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri del 12 gennaio 2017 "Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'art. 1, comma 7, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502" Attuazione dell'allegato 7 - "Elenco malattie rare esentate dalla partecipazione al costo">>;

VISTA la determina AIFA n. DG/817 del 7.7.2021 (G.U. n. 170 del 17.7.2021) - *Regime di rimborsabilità e prezzo, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche, del medicinale per uso umano «Translarna», la quale per la nuova indicazione a carico SSN trattamento della distrofia muscolare di Duchenne dovuta a mutazione nonsense nel gene della distrofina (nonsense mutation Duchenne muscular dystrophy, nmDMD) nei pazienti deambulanti di età pari o superiore a due anni. La presenza di una mutazione nonsense nel gene della distrofina deve essere stabilita mediante analisi genetiche-* stabilisce che tale medicinale:

- ai fini della rimborsabilità è classificato in classe H;
- ai fini della fornitura come medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, da rinnovare volta per volta, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti - centri individuati dalle regioni (RNRL);

VISTA la legge regionale n. 19 del 25 ottobre 2016 - *Istituzione dell'ente di governance della sanità regionale veneta denominato "Azienda per il governo della sanità della Regione del Veneto - Azienda Zero". Disposizioni per la individuazione dei nuovi ambiti territoriali delle Aziende ULSS;*

PRESO ATTO del parere del Coordinamento Regionale per le Malattie Rare (di cui alla D.G.R. n. 2169 del 8.8.2008) e dell'attività svolta a supporto della scelta di adozione del presente provvedimento dalla Commissione Tecnica Regionale Farmaci, come da verbale del 23.9.2021;

decreta

1. di individuare, ai fini della prescrizione del farmaco ataluren (Translarna -Registered) per le nuove indicazioni terapeutiche nel trattamento della distrofia muscolare di Duchenne dovuta a mutazione nonsense nel gene della distrofina nei pazienti deambulanti di età pari o superiore a due anni, di cui alla determina AIFA n. DG/817 del 7.7.2021 in premessa descritta, le seguenti Unità Operative già Centri regionali di riferimento per le Malattie Rare:

Azienda ULSS/Ospedaliera/IRCCS	Unità Operativa autorizzata
Azienda Ospedale Università Padova	UOC Neurologia UOC Pediatria
Azienda Ospedaliero Universitaria Integrata Verona	UOC Neuropsichiatria infantile UOC Neurologia B (Polo Borgo Roma)
IRCCS Eugenio Medea di Conegliano (TV)	

2. di precisare che la prescrizione del farmaco in oggetto da parte dei Centri di cui al punto 1, è soggetta alla compilazione del Registro per le Malattie Rare istituito con D.G.R. n. 741/2000;
3. di dare atto che il presente provvedimento non comporta spesa a carico del bilancio regionale;
4. di comunicare il presente provvedimento per il seguito di competenza ad Azienda Zero, Aziende ULSS, Aziende Ospedaliere, IRCCS e alle Strutture private-accreditate della Regione del Veneto;
5. di pubblicare il presente provvedimento in forma integrale nel Bollettino Ufficiale della Regione.

Luciano Flor