

DECRETO DEL DIRETTORE GENERALE DELL' AREA SANITA' E SOCIALE n. 153 del 10 novembre 2022

Individuazione dei Centri Regionali autorizzati alla prescrizione dei farmaci setmelanotide (Imcivree - Registered), indicato per il trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati a deficit di pro-opiomelanocortina (POMC), compreso PCSK1, con perdita di funzione bi-allelica geneticamente confermata, o a deficit bi-allelico del recettore della leptina (LEPR) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore ai sei anni e vosoritide (Voxzogo - Registered), indicato per il trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età pari e superiore ai due anni, le cui epifisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica.

[Sanità e igiene pubblica]

Note per la trasparenza:

Si individuano i Centri Regionali autorizzati alla prescrizione dei farmaci setmelanotide (Imcivree - Registered), come da Determina AIFA n. 562 del 3.8.2022 (GU n. 200 del 27.8.2022) e vosoritide (Voxzogo - Registered), come da Determina AIFA n. 651 del 8.9.2022 (GU n. 213 del 12.9.2022).

Il Direttore generale

VISTA la D.G.R. 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" e succ. mod. e int.;

VISTA la D.G.R. del 14.5.2015, n. 763 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. del 25.9.2017, n. 1522 «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. 562 del 3.8.2022 (GU n. 200 del 27.8.2022) *Riclassificazione del medicinale per uso umano «Imcivree», ai sensi dell'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537 - in base alla quale tale farmaco, nuova entità terapeutica, indicato per il trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati a deficit di pro-opiomelanocortina (POMC), compreso PCSK1, con perdita di funzione bi-allelica geneticamente confermata, o a deficit bi-allelico del recettore della leptina (LEPR) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore ai sei anni, è classificato:*

- ai fini della rimborsabilità a carico del Servizio Sanitario Nazionale in classe H e deve essere prescritto da centri utilizzatori specificatamente individuati dalle regioni, mediante compilazione della scheda di 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 fini della fornitura, come medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri identificati dalle regioni (RRL);

VISTA la determina AIFA n. 651 del 8.9.2022 (GU n. 213 del 12.9.2022) *Regime di rimborsabilità e prezzo, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche, del medicinale per uso umano «Voxzogo»* - in base alla quale tale farmaco, nuova entità terapeutica, indicato per il trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età pari e superiore ai due anni, le cui epifisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica, è classificato:

- ai fini della rimborsabilità a carico del Servizio Sanitario Nazionale in classe H e deve essere prescritto da centri utilizzatori specificatamente individuati dalle regioni, mediante compilazione della scheda di 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 fini della fornitura, come medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri di riferimento autorizzati alla diagnosi e al trattamento dell'acondroplasia individuati dalle regioni e province autonome (RRL);

PRESO ATTO

che le sopra citate determinazioni attribuiscono ai farmaci setmelanotide (Imcivree - Registered) e vosoritide (Voxzogo - Registered), per le indicazioni sopra riportate, il requisito dell'innovazione terapeutica, da cui consegue l'inserimento nel fondo per i farmaci innovativi ai sensi dell'art. 1, comma 400-406, legge 11 dicembre 2016, n. 232 (legge di bilancio 2017);

VISTO il proprio decreto n. 115 del 23.08.2022 "Limiti di costo degli Enti SSR in materia di beni sanitari per l'anno 2022. Modifica delle disposizioni", in riferimento ai "farmaci innovativi";

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;

VISTO il decreto Area Sanità e Sociale n. 84 del 7.7.2017 "Approvazione dell'atto aziendale dell'Azienda per il governo della sanità della Regione Veneto - Azienda Zero. D.G.R. n. 733 del 29 maggio 2017", nella parte in cui tra le funzioni che l'Azienda Zero - U.O.C. HTA deve assicurare è indicato il "supporto alla funzione logistica mediante la valutazione ed il supporto nell'implementazione di sistemi informatizzati di prescrizione finalizzati a governare l'appropriatezza e la spesa";

PRESO ATTO

della comunicazione del Coordinamento Regionale per le Malattie Rare (di cui alla D.G.R. n. 2169 del 8.8.2022), in merito alla segnalazione del Codice di esenzione malattia rara cui afferiscono le indicazioni in oggetto:

- *trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati a deficit di pro-opiomelanocortina (POMC), compreso PCSK1, con perdita di funzione bi-allelica geneticamente confermata, o a deficit bi-allelico del recettore della leptina (LEPR) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore ai sei anni.* Nell'elenco delle malattie rare, al momento, non è presente questo gruppo come tale. Alcune delle forme, che appartengono a questo gruppo, rientrano nell'elenco, in quanto caratterizzate da Ipogonadismo ipogonadotropo congenito (RC0022).

Nello specifico, attualmente risultano ricomprese e pertanto aventi diritto all'esenzione per malattia rara (codice di esenzione RC0022) le seguenti entità:

- *Obesità da deficit del recettore della leptina*
- *Obesità da deficit di pro-ormone convertasi 1;*

- *trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età pari e superiore ai due anni, le cui epifisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica* (RNG050 - condrodistrofie congenite);

PRESO ATTO

altresì, del parere espresso dalla CTRF, in ordine alle unità operative da individuare quali centri prescrittori (verbale seduta del 20.10.2022), sulla base dell'istruttoria svolta da Azienda Zero - UOC HTA, comprensiva del parere espresso dal Coordinamento Regionale per le Malattie Rare.

decreta

1. di individuare, ai fini della prescrizione del farmaco setmelanotide (Imcivree - Registered), nuova entità terapeutica, indicato *per il trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati a deficit di pro-opiomelanocortina (POMC), compreso PCSK1, con perdita di funzione bi-allelica geneticamente confermata, o a deficit bi-allelico del recettore della leptina (LEPR) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore ai sei anni* - ai sensi della determina AIFA descritta in premessa - le seguenti Unità Operative già Centri di riferimento per le Malattie Rare:

Azienda Ospedale Università Padova	UOC Clinica Medica 3
	UOC Clinica Pediatrica
Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata Verona	UOC Pediatria B
	UOC Pediatria C
	UOC Endocrinologia, Diabetologia e Malattie del Metabolismo

2. di individuare, ai fini della prescrizione del farmaco vosoritide (Voxzogo - Registered), nuova entità terapeutica, indicato *il trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età pari e superiore ai due anni, le cui epifisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica* - ai sensi della determina AIFA descritta in premessa - le seguenti Unità Operative già Centri di riferimento per le Malattie Rare:

Azienda Ospedale Università Padova	UOC Clinica Pediatrica
Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata Verona	UOC Pediatria C

3. di dare atto che la prescrizione da parte dei Centri autorizzati di cui sopra, avverrà attraverso la compilazione del Registro di monitoraggio dell'Agenzia Italiana del Farmaco secondo le modalità definite dalla stessa nel proprio sito <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1>;
4. di demandare ad Azienda Zero - U.O.C. HTA della Regione del Veneto l'abilitazione dei suddetti Centri prescrittori attraverso l'apposito applicativo informatico;
5. di precisare che la prescrizione del farmaco setmelanotide (Imcivree - Registered) - esclusivamente per le parti associate al codice di esenzione malattia rara RCG0022 - e del farmaco vosoritide (Voxzogo - Registered), è soggetta anche alla compilazione del Registro per le Malattie Rare istituito con D.G.R. n. 741/2000;
6. di dare atto che il presente provvedimento non comporta spesa a carico del bilancio regionale;
7. 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;
8. di pubblicare il presente provvedimento in forma integrale nel Bollettino Ufficiale della Regione.

Luciano Flor