

REPUBBLICA ITALIANA
Regione Siciliana



ASSESSORATO DELLA SALUTE
Dipartimento Regionale per la Pianificazione Strategica
Servizio 7 Farmaceutica
Centro Regionale di Farmacovigilanza

Prot. n. 32193

Palermo, 08.07.2024

Oggetto: Aggiornamento n. 92 del Prontuario Terapeutico Ospedaliero/Territoriale della Regione Sicilia

Ai Commissari Straordinari delle Aziende Sanitarie

Ai Servizi di Farmacia delle Aziende Sanitarie

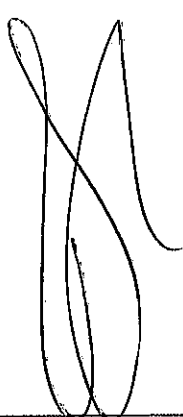
All'AIOP

A Federfarma Sicilia

e p.c. Al Referente Tecnico della C.U.C.

LORO SEDI

Nelle more della predisposizione del provvedimento di aggiornamento del PTORS, dopo aver esaminato la documentazione pervenuta a supporto dei farmaci candidati all'inserimento nel PTORS ed effettuato il controllo circa la valenza economica ed organizzativa degli stessi ai sensi del D.A. 1733/19 art. 2, si stabilisce quanto segue:

ATC	Principio attivo	
A08AA12	Setmelanotide (<i>medicinale innovativo con accesso al fondo farmaci innovativi</i>)	Viene approvata la seguente estensione delle indicazioni: <i>"trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati a sindrome di Bardet-Biedl (BBS), geneticamente confermata negli adulti e nei bambini di età pari o superiore ai sei anni"</i> . Registro AIFA. Prescrizione da parte dei Centri per le malattie rare identificati con il codice RN1380. Dispensazione per i primi 2 mesi dal Centro Prescrittore e per il restante periodo di trattamento dall'ASP di residenza dei pazienti.
A16AA07	Metreleptina 	Viene approvata la seguente estensione delle indicazioni: <i>"in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD) con diagnosi confermata di LD parziale familiare o di LD parziale acquisita (sindrome di Barraquer Simons) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 12 anni, in presenza di TUTTI i seguenti criteri:</i> 1) $HbA1c \geq 8\%$ e/o TG a digiuno ≥ 500 mg/dL; 2) NASH/NAFLD/epatomegalia o ≥ 1 episodio di pancreatite o malattia cardiovascolare e/o cardiomiopatia o insufficienza renale (albuminuria e/o proteinuria) o insulinemia a digiuno ≥ 30 $\mu U/ml$ e/o >300 $\mu U/ml$ durante OGTT; 3) risposta non adeguata alla terapia convenzionale di supporto (anti-diabetica, ipolipemizzante, antiipertensiva, antidolorifica) al

ATC	Principio attivo	
		<i>dosaggio massimo tollerato</i>". Prescrizione su scheda cartacea AIFA, in allegato, da parte dei Centri per le malattie rare identificati con il codice RC0080 di cui al DA 38/24. La suddetta scheda sostituisce quella di cui alla nota prot. n. 33141 del 24/07/2020-Aggiornamento n. 51 del PTORS. La prosecuzione a carico SSN dopo 1 anno di trattamento è consentita soltanto in caso di miglioramento clinico secondo i criteri indicati nella scheda AIFA. Dispensazione diretta dal Centro prescrittore.
L01XL07	Idecabtagene vicleucel	Inserito in Prontuario per il <i>"trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante e refrattario che hanno ricevuto almeno tre precedenti terapie, inclusi un agente immunomodulatore, un inibitore del proteasoma e un anticorpo anti-CD38, e che hanno dimostrato progressione della malattia durante l'ultima terapia"</i>. Registro AIFA. Prescrizione da parte dei Centri di Ematologia dotati dei requisiti stabiliti dall'AIFA per la gestione della terapia, già individuati dalla Regione con il D.A. 1763/19. Acquisto centralizzato da parte del Dipartimento del Farmaco dell'ASP di Palermo che gestirà ordini, fatture e liquidazioni per tutte le terapie avviate sia nei Centri regionali, sia in quelli extraregionali. Negli ordini dovrà essere indicata la sede di consegna del farmaco presso la struttura somministratrice.
L01XX88	Lisocabtagene maraleucel	Inserito in Prontuario per il <i>"trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL), linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B (PMBCL) e linfoma follicolare di grado 3B (FL3B) recidivati o refrattari, dopo due o più linee di terapia sistemica"</i>. Registro AIFA. Prescrizione da parte dei Centri di Ematologia dotati dei requisiti stabiliti dall'AIFA per la gestione della terapia, già individuati dalla Regione con il D.A. 1763/19. Acquisto centralizzato da parte del Dipartimento del Farmaco dell'ASP di Palermo che gestirà ordini, fatture e liquidazioni per tutte le terapie avviate sia nei Centri regionali, sia in quelli extraregionali. Negli ordini dovrà essere indicata la sede di consegna del farmaco presso la struttura somministratrice.

Si ribadisce che, ai sensi di quanto disposto nell'allegato al D.A. 26 del 18 gennaio 2023, l'inserimento in PTORS dei suddetti medicinali è subordinato all'assegnazione del Codice Identificativo Gara (CIG) da parte della Centrale Unica di Committenza.

Si dispone altresì che per i farmaci erogati in DPC l'inserimento in PTORS è subordinato all'assegnazione del CIG dall'ASP Capofila.

Il Responsabile del Servizio
~~Dr. Pasquale Cananzi~~

Il Dirigente Generale
 Dr. Salvatore Iacolino

ALLEGATO

SCHEDA DI PRESCRIZIONE OSPEDALIERA MEDICINALE MYALEPTA (metreleptina)

(Da compilarsi ai fini della rimborsabilità SSN a cura dei soli specialisti ospedalieri in Endocrinologia e Pediatria; prima prescrizione e primo rinnovo della durata di 6 mesi, quindi possibilità di rinnovi annuali)

Centro prescrittore _____
Medico prescrittore (cognome, nome) _____
Tel. _____ e-mail _____

Paziente (cognome, nome) _____

Data di nascita _____ sesso M ☐ F ☐ peso (kg) _____ altezza (cm) _____

Comune di nascita _____ Estero ☐

Codice fiscale |_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|

Residente a _____ Tel. _____

Regione _____ ASL di residenza _____ Prov. _____

Medico di Medicina Generale _____

Indicazioni rimborsate SSN

Myalepta è indicato in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina

- negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 2 anni con alterazioni metaboliche e diagnosi confermata di lipodistrofia generalizzata congenita (sindrome di Berardinelli-Seip) o di lipodistrofia generalizzata acquisita (sindrome di Lawrence)
- negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 12 anni con diagnosi confermata di lipodistrofia parziale familiare o di lipodistrofia parziale acquisita (sindrome di Barraquer-Simons), in presenza di TUTTI i seguenti criteri:
 - 1) HbA1c $\geq 8\%$ e/o TG a digiuno ≥ 500 mg/dL;
 - 2) NASH/NAFLD/epatomegalia o ≥ 1 episodio di pancreatite o malattia cardiovascolare e/o cardiomiopatia o insufficienza renale (albuminuria e/o proteinuria) o insulinemia a digiuno ≥ 30 μ U/ml e/o >300 μ U/ml durante OGTT;
 - 3) risposta non adeguata alla terapia convenzionale di supporto (anti-diabetica, ipolipemizzante, anti-ipertensiva, antidolorifica) al dosaggio massimo tollerato.

Nota. Per i pazienti con lipodistrofia parziale già in trattamento con il medicinale precedentemente alla data di pubblicazione della presente scheda (ad es. nell'ambito di programma di uso compassionevole, accesso al fondo 5%, studio clinico, regime Cnn), la prosecuzione a carico SSN è consentita soltanto se il paziente presentava, al momento dell'inizio reale del trattamento, tutti i criteri di rimborsabilità sopra stabiliti.



Prescrizione MYALEPTA (metreleptina)

Dosaggio*: _____

☐ mg/kg/die☐ mg/die

*da RCP, par. 4.2

Tabella 1. Dose raccomandata di metreleptina

Peso al basale	Dose giornaliera iniziale (volume di iniezione)	Aggiustamenti della dose (volume di iniezione)	Dose massima giornaliera (volume di iniezione)
Maschi e femmine ≤ 40 kg	0,06 mg/kg (0,012 ml/kg)	0,02 mg/kg (0,004 ml/kg)	0,13 mg/kg (0,026 ml/kg)
Maschi > 40 kg	2,5 mg (0,5 ml)	da 1,25 mg (0,25 ml) a 2,5 mg (0,5 ml)	10 mg (2 ml)
Femmine > 40 kg	5 mg (1 ml)	da 1,25 mg (0,25 ml) a 2,5 mg (0,5 ml)	10 mg (2 ml)

In base alla risposta clinica (ad es. un controllo metabolico inadeguato) o ad altre considerazioni (ad es. problemi di tollerabilità; calo ponderale eccessivo, in particolare nei pazienti pediatrici), la dose può essere ridotta oppure aumentata fino alla dose massima riportata nella Tabella 1.

Specificare se si tratta di:

☐ Prima prescrizione (durata 6 mesi)

Prosecuzione di terapia

☐ 1° rinnovo (durata 6 mesi)

Dopo 1 anno di trattamento il paziente ha ottenuto un miglioramento clinico, definito da una riduzione dell'HbA1c ≥1.0% e/o dei trigliceridi a digiuno ≥30%. ☐ Sì ☐ No

Rinnovo successivo al 1°

☐ durata 6 mesi☐ durata 12 mesi

La prosecuzione a carico SSN dopo 1 anno di trattamento è consentita soltanto in caso di miglioramento clinico secondo la definizione sopra riportata.

NOTA BENE

Il clinico deve prendere visione delle controindicazioni e precauzioni d'impiego riportate in RCP (cfr. par. 4.3-4.4-4.5-4.6-4.7). Si rimanda a RCP per posologia e modo di somministrazione (cfr. par. 4.2).

Confezioni di Myalepta prescritte (specificare dosaggio e numero di confezioni richiesto):

☐ Myalepta 3 mg polvere per soluzione iniettabile, 30 flaconcini

numero confezioni _____

☐ Myalepta 5.8 mg polvere per soluzione iniettabile, 30 flaconcini

numero confezioni _____

☐ Myalepta 11.3 mg polvere per soluzione iniettabile, 30 flaconcini

numero confezioni _____

Data _____

Timbro e Firma del Medico specialista prescrittore

