

A.Li.Sa.
AZIENDA LIGURE SANITARIA DELLA REGIONE LIGURIA
C.F. / P. IVA 02421770997

DELIBERAZIONE N. 202 DEL 14.09.2023

Oggetto: Individuazione centro prescrittore presso IRCCS Istituto G. Gaslini del medicinale soggetto a registro di monitoraggio Aifa "Voxzogo" a seguito di nuova indicazione terapeutica rimborsata.

DIRETTORE GENERALE

Su conforme proposta del Direttore della S.C. Politiche del Farmaco, Dispositivi Medici, Protesica e Integrativa

RICHIAMATA la L.R. n. 17 del 29.07.2016 di "Istituzione dell'Azienda Ligure Sanitaria della Regione Liguria (A.Li.Sa.) e indirizzi per il riordino delle disposizioni regionali in materia sanitaria e sociosanitaria" e ss.mm.ii. ed, in particolare, l'art. 3, comma 2, che attribuisce ad A.Li.Sa. funzioni di programmazione sanitaria e sociosanitaria, coordinamento, indirizzo e "governance" delle Aziende sanitarie e degli altri enti del Servizio Sanitario Regionale;

CONSIDERATO che in base a quanto stabilito dalla citata legge regionale in ordine alle funzioni attribuite ad A.Li.Sa. sono stati adottati i seguenti provvedimenti:

D.G.R. n. 7 del 13.01.2017 con la quale sono stati approvati i principi e i criteri per l'organizzazione delle Aziende, Istituti ed Enti del SSR e le linee guida per la redazione degli atti di autonomia aziendale;

D.G.R. n. 228 del 24.03.2017 con la quale sono state attribuite ad A.Li.Sa., in attuazione della previsione di cui alla lettera p), comma 2), art. 3 della L.R. n. 17 del 29.07.2016 e in continuità con i provvedimenti regionali, ulteriori funzioni e compiti in materia di assistenza farmaceutica;

RICHIAMATA la D.G.R. n. 658 del 7.07.2023 ad oggetto: "Assegnazione degli obiettivi per l'anno 2023 ai Direttori generali delle Aziende sociosanitarie liguri, di A.Li.Sa., dell'IRCCS Ospedale Policlinico San Martino, nonché dell'IRCCS Gaslini ed agli Enti Ospedalieri Galliera ed Evangelico";

VISTA la determina AIFA 8 settembre 2022 ad oggetto: "Regime di rimborsabilità e prezzo, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche del medicinale per uso umano <<Voxzogo>> (Determina n. 651/2022)", pubblicata sulla G.U. n. 213 del 12.09.2022, con la quale l'AIFA ha autorizzato la rimborsabilità, in fascia H, del medicinale <<Voxzogo>> (p.a. vosoritide) per l'indicazione terapeutica: *"trattamento dell'accondroplasia in pazienti di età compresa tra i 5 e i 14 anni al momento dell'inizio della terapia e le cui epifisi non siano chiuse. La diagnosi di accondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica"*; AIFA ha attribuito al medicinale per l'indicazione sopra indicata il requisito dell'innovatività terapeutica piena da cui consegue, tra l'altro, l'accesso al fondo dei farmaci innovativi di cui all'articolo 1, comma 401, della legge n. 232/2016 (legge di bilancio 2017) come modificata dal Decreto-legge 25 maggio 2021 n. 73, convertito con modificazioni dalla legge 23 luglio 2021 n.106;

RICHIAMATA la determina AIFA 3 luglio 2023 ad oggetto: "Regime di rimborsabilità e prezzo, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche, del medicinale per uso umano «Voxzogo». (Determina n.453/2023)", pubblicata sulla G.U. n. 160 del 11.07.2023, con la quale l'AIFA ha autorizzato la rimborsabilità, in fascia H, del medicinale <<Voxzogo>> (p.a. vosoritide) per l'indicazione terapeutica: «Trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età compresa tra i due e i cinque anni. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica»; AIFA ha confermato al medicinale per l'indicazione sopra indicata il requisito dell'innovatività terapeutica piena da cui consegue, tra l'altro, l'accesso al fondo dei farmaci innovativi di cui all'articolo 1, comma 401, della legge n. 232/2016 (legge di bilancio 2017) come modificata dal decreto legge 25 maggio 2021 n. 73, convertito con modificazioni dalla legge 23 luglio 2021 n.106;

RILEVATO che il provvedimento AIFA sopra indicato stabilisce che: *"Ai fini delle prescrizioni a carico del SSN, 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 determinazione";*

RICHIAMATA la Delibera A.Li.Sa. n. 315 del 20.10.2022 ad oggetto: "Individuazione centro prescrittore presso IRCCS Istituto G. Gaslini del medicinale di nuova immissione in commercio "Voxzogo" sottoposto a registro di monitoraggio AIFA." con la quale A.Li.Sa. ha provveduto ad individuare il centro prescrittore presso IRCCS Istituto G. Gaslini del medicinale soggetto a registro di monitoraggio AIFA "Voxzogo";

RICHIAMATI:

- il decreto 18 maggio 2001, n. 279 "Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie, ai sensi dell'articolo 5, comma 1, lettera b), del decreto legislativo 29 aprile 1998, n. 124";

- la Legge 10 novembre 2021, n. 175 "Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani";

RICHIAMATA la Delibera A.Li.Sa. n. 474 del 22.12.2021 ad oggetto: "Elenco Presidi Accreditati e Unità Operative di riferimento per la diagnosi e cura di malattie rare o gruppi di malattie rare in Regione Liguria, aggiornamento al Dicembre 2021" con la quale A.Li.Sa. ha provveduto ad approvare l'elenco dei Presidi Accreditati e delle Unità operative di Riferimento per la diagnosi e cura di malattie rare o gruppi di malattie rare in Regione Liguria;

RILEVATO, altresì, che il medicinale "Voxzogo" (p.a. vosoritide) è stato autorizzato per il trattamento dell'acondroplasia classificata come patologia rara e che, pertanto, si ritiene di dover confermare, ai fini della prescrizione a carico del SSN, la Clinica Pediatrica e Endocrinologia dell'Istituto G. Gaslini già individuata con la sopra citata Delibera di A.Li.Sa. n. 474 del 22.12.2021;

CONSIDERATO che:

- la rete nazionale per le Malattie rare, istituita ai sensi del D.M. 279/2001 e confermata dalla Legge 10 novembre 2021, n. 175, è una rete clinico epidemiologica costituita dai Centri di diagnosi e cura ovvero dai presidi accreditati, appositamente individuati dalle regioni, per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e il trattamento delle malattie rare;
- tali presidi devono garantire la presa in carico totale del paziente assicurando qualità delle cure e prossimità delle stesse;

- l'individuazione dei centri prescrittori regionali ottempera gli obblighi previsti dalla normativa nazionale, ai fini della prescrizione dei medicinali a carico del SSN e che, pertanto, i centri individuati per la prescrizione sono tenuti ad effettuare la diagnosi e a compilare la scheda di eleggibilità dei pazienti alle terapie sottoposte a registro di monitoraggio AIFA;
- la distribuzione ovvero la somministrazione dei medicinali deve avvenire sulla base delle disposizioni regionali favorendo, prioritariamente, il principio della prossimità;

RITENUTO di confermare ai fini della prescrizione, a carico del SSN, del medicinale "Voxzogo", la Clinica Pediatrica e Endocrinologia" dell'IRCCS G. Gaslini, già individuata con la citata Delibera A.Li.Sa. n. 474 del 22.12.2021, centro di riferimento regionale per la diagnosi e cura dell'acondroplasia;

RICHIAMATA altresì la delibera di Giunta Regionale n. 255 dell'1.04.2022 ad oggetto: "Art 27 bis (attribuzione all'IRCCS Istituto Giannina Gaslini delle funzioni sanitarie in ambito pediatrico e neonatologico in capo alle Aziende Socio Sanitarie Liguri) della L.R. 41/2006 e ss.mm.ii. Provvedimenti attuativi";

VALUTATA, pertanto, la necessità per favorire la prossimità delle cure, di fornire le indicazioni relative alla prescrizione, dispensazione e effettuazione del follow up come di seguito riportato:

- compilazione della scheda di eleggibilità e della scheda di prescrizione da parte del centro di riferimento regionale "Clinica Pediatrica e Endocrinologia" dell'Istituto G. Gaslini (Hub);
- distribuzione dei medicinali da parte della farmacia più prossima alla residenza dell'assistito. A tal fine il Centro hub deve coordinarsi efficacemente con la farmacia che distribuirà il farmaco e, successivamente, individuare la stessa tramite procedura informatica del registro AIFA per la distribuzione dei farmaci. L'attivazione della procedura sopra indicata è condizione necessaria per l'acquisto e distruzione dei farmaci nonché per l'accesso ai fondi dei farmaci innovativi;
- effettuazione del follow up da parte del centro di riferimento regionale "Clinica Pediatrica e Endocrinologia" dell'Istituto G. Gaslini (Hub) secondo la tempistica prevista da AIFA con compilazione delle schede di rivalutazione periodica;

VALUTATA la possibilità, in base allo stato di avanzamento del piano di attuazione del trasferimento delle funzioni previsto con la citata D.G.R. n. 255 dell'1.04.2022, che la presa in carico successiva alla diagnosi e alla compilazione della scheda di eleggibilità al trattamento avvenga da parte delle UU.OO. di Pediatria del così detto "Gaslini Diffuso" (spoke) previa comunicazione e condivisione con il centro prescrittore (hub);

RITENUTO, nella fattispecie sopra indicata, di prevedere che anche l'effettuazione del follow up sia a carico delle UU.OO. di Pediatria del "Gaslini diffuso" (spoke) secondo la tempistica prevista da AIFA con compilazione delle schede di rivalutazione periodica;

RILEVATO che presso la "Clinica Pediatrica e Endocrinologia" dell'IRCCS G. Gaslini risultano ad oggi in cura un numero significativo di pazienti pediatrici anche residenti fuori regione e che, pertanto, anche per tali pazienti è opportuno che venga favorito e semplificato l'accesso alle cure garantendone la prossimità;

PREMESSO che:

- un centro di riferimento per le patologie rare per essere accreditato deve rispondere a precisi requisiti di qualità stabiliti dalla normativa di riferimento;
- la presa in carico del paziente deve favorire la fruibilità e la prossimità delle cure;
- nel caso di pazienti fuori regione, la presa in carico da parte di IRCCS Gaslini deve avvenire previo consenso degli stessi e con acquisizione formale del nulla osta da parte della Regione di appartenenza anche in considerazione della necessità di garantire la prossimità della erogazione del farmaco per evitare inutili spostamenti all'assistito;

CONSIDERATO che l'individuazione dei centri prescrittori regionali ottempera agli obblighi previsti dalla normativa nazionale, ai fini della prescrizione a carico del SSN e che, pertanto, i centri individuati alla prescrizione dei medicinali sono tenuti ad effettuare la diagnosi e a compilare la scheda di eleggibilità dei pazienti alle terapie sottoposte a registro o piano terapeutico web AIFA;

RITENUTO, pertanto, per dare applicazione alla normativa vigente, di dover provvedere alla conferma dei centri prescrittori dei medicinali soggetti a registro di monitoraggio Aifa "Voxzogo" (p.a. vosoritide);

ACQUISITO il parere favorevole del Direttore Sanitario, del Direttore Amministrativo e del Direttore Socio – Sanitario

DELIBERA

Per le motivazioni indicate in premessa e che qui, integralmente, si richiamano:

a) di confermare la Clinica Pediatrica e Endocrinologia dell'IRCCS G. Gaslini centro per la prescrizione del medicinale: "Voxzogo" (p.a. vosoritide), per l'indicazione terapeutica «Trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età compresa tra i due e i cinque anni. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica».

L'AIFA ha attribuito al medicinale per l'indicazione sopra indicata il requisito dell'innovatività terapeutica piena da cui consegue, tra l'altro, l'accesso al fondo dei farmaci innovativi di cui all'articolo 1, comma 401, della legge n. 232/2016 (legge di bilancio 2017) come modificata dal decreto legge 25 maggio 2021 n. 73, convertito con modificazioni dalla legge 23 luglio 2021 n.106;

b) di stabilire, al fine di favorire la prossimità delle cure, che la prescrizione, la dispensazione, la presa in carico e l'effettuazione del follow up debba avvenire con le modalità di seguito indicate:

- compilazione della scheda di eleggibilità e della scheda di prescrizione da parte del centro di riferimento regionale "Clinica Pediatrica e Endocrinologia" dell'Istituto G. Gaslini (Hub);
- distribuzione dei medicinali da parte della farmacia più prossima alla residenza dell'assistito. A tal fine il Centro hub deve coordinarsi efficacemente con la farmacia che distribuirà il farmaco e, successivamente, individuare la stessa tramite procedura informatica del registro AIFA per la distribuzione dei farmaci. L'attivazione della procedura sopra indicata è condizione necessaria per l'acquisto e distribuzione dei farmaci nonché per l'accesso ai fondi dei farmaci innovativi;

- effettuazione del follow up da parte del centro di riferimento regionale “Clinica Pediatrica e Endocrinologia” dell’Istituto G. Gaslini (Hub) secondo la tempistica prevista da AIFA con compilazione delle schede di rivalutazione periodica;
- in base allo stato di avanzamento del piano di attuazione del trasferimento delle funzioni previsto con la citata D.G.R. n. 255 dell’1.04.2022, la presa in carico successiva alla diagnosi e alla compilazione della scheda di eleggibilità al trattamento può avvenire da parte delle UU.OO. di Pediatria del così detto “Gaslini Diffuso” (spoke) previa comunicazione e condivisione con il centro prescrittore (hub); in tal caso le UU.OO. di Pediatria del “Gaslini diffuso” (spoke) effettuano il follow up e compilano le schede di rivalutazione periodica base alla tempistica prevista da AIFA;
- nel caso di pazienti fuori regione, la presa in carico da parte di IRCCS Gaslini deve avvenire previo consenso degli stessi e con acquisizione formale del nulla osta da parte della Regione di appartenenza anche in considerazione della necessità di garantire la prossimità della erogazione del farmaco per evitare inutili spostamenti all’assistito;

c) di riservarsi la possibilità di modificare/integrare gli elenchi di cui sopra a seguito delle mutate esigenze assistenziali/organizzative regionali;

d) di confermare che l’individuazione dei centri prescrittori ottempera agli obblighi previsti dalla normativa nazionale, ai fini della prescrizione dei medicinali a carico del SSN;

e) di evidenziare che i centri individuati alla prescrizione dei medicinali sono tenuti ad effettuare la diagnosi e a compilare la scheda di eleggibilità dei pazienti alle terapie sottoposte a registro AIFA;

f) di ribadire l’obbligo per le Aziende, gli Enti e gli IRCCS del SSR di assicurare:

- la completezza, la correttezza e la qualità dei dati registrati sui flussi ministeriali dell’erogazione diretta ed ospedaliera;

- la corrispondenza tra il flusso dei consumi e i dati inseriti nei registri di monitoraggio AIFA, in quanto rientra tra gli indirizzi operativi per gli anni 2019 e 2020 per l’area farmaceutica, approvati rispettivamente con DGR n.7 dell’11.01.2019 e DGR n. 1 del 10.01.2020;

- il corretto inserimento dei medicinali che, a giudizio della Commissione Tecnico Scientifica, possiedono il requisito dell’innovatività terapeutica piena (ai sensi dell’articolo 10, comma 2 della Legge n. 189/2012, come definito dall’art.1 comma 1 dell’accordo Stato Regioni del 18 novembre 2010 (Rep. Atti n.197/CSR) e devono essere inseriti nel flusso farmaceutico della diretta III fase secondo le specifiche tecniche dell’“Erogazione diretta farmaci”- versione agosto 2023- che recepisce le ultime regole della compensazione sanitaria regionale TUC 2022; tali farmaci dovranno essere rendicontati con importo pari a zero esclusivamente per le indicazioni con requisito di innovatività piena e solamente per il periodo di innovatività;

g) di richiamare gli obblighi del personale sanitario in ordine al puntuale monitoraggio del profilo di sicurezza dei medicinali tramite la tempestiva segnalazione delle sospette reazioni avverse secondo le modalità e tempistiche previste dalla normativa vigente;

h) di dare atto che i maggiori oneri derivanti dall’adozione del presente provvedimento trovano copertura nelle quote del Fondo Sanitario assegnate alle Aziende e agli Enti Sanitari del SSR e nel fondo dei farmaci

innovativi di cui all'articolo 1, comma 401, della legge n. 232/2016 (legge di bilancio 2017) come modificata dal decreto legge 25 maggio 2021 n. 73, convertito con modificazioni dalla legge 23 luglio 2021 n.106;

i) di trasmettere il presente provvedimento alle AA.SS.LL., agli IRCCS Policlinico San Martino e G. Gaslini, all'Ente Ospedaliero "Galliera", all'E.O. Evangelico Internazionale, al SUAR e ai Direttori di Farmacia delle AA.SS.LL., degli IRCCS Policlinico San Martino e G. Gaslini, dell'E.O. Galliera e all'E.O. Evangelico Internazionale;

j) di disporre la pubblicazione del presente provvedimento sul proprio albo pretorio on – line;

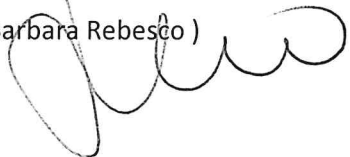
k) di disporre la pubblicazione del presente provvedimento sulla sezione farmaceutica del sito web aziendale;

l) di dare atto che il presente provvedimento è composto da n. 6 pagine.

IL PROPONENTE

Il Direttore S.C. Politiche del Farmaco, Dispositivi Medici, Protesica e Integrativa

(Dott.ssa Barbara Rebesco)



Parere favorevole formulato ai sensi del D.Lgs. n. 502/92 e ss.mm.ii.

IL DIRETTORE AMMINISTRATIVO

(Dott.ssa Daniela Troiano)



IL DIRETTORE SANITARIO

(Dott. Pierangelo Sarchi)



IL DIRETTORE SOCIO SANITARIO

(Dott.ssa Cristina Giordano)

IL DIRETTORE GENERALE

(Prof. Filippo Ansaldi)

