

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

DELIBERAZIONE N. 49 DEL 27.02.2025

Oggetto: integrazione dei centri prescrittori del medicinale Xenpozyme (p.a. olipudasi alfa) per l'indicazione terapeutica "deficit di sfingomielinasi acida".

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. e, 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. 789 del 01.08.2024 ad oggetto: "Valutazione degli obiettivi assegnati ai Direttori generali delle aziende sociosanitarie, dell'IRCSS Ospedale Policlinico San Martino e di A.Li.Sa. per l'anno 2023: trattamento economico accessorio. Valutazione degli obiettivi assegnati ai Direttori generali dell'IRCCS Gaslini, dell'E.O. Ospedali Galliera e dell'Ospedale Evangelico Internazionale per l'anno 2023. Conferma obiettivi per l'anno 2024";

RICHIAMATO altresì il Piano Sociosanitario per gli anni 2023-2025, approvato con DCR n. 19 del 2023 e, in particolare, il paragrafo "4.5.1.1. Farmaceutica ospedaliera e territoriale";

RICHIAMATA la determina AIFA n. n. 683 del 14.11.2023, pubblicata sulla G.U. n. 275 del 24.11.2023, avente oggetto: "Riclassificazione del medicinale per uso umano «Xenpozyme», ai sensi dell'art. 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537" con la quale l'indicazione terapeutica: "«Xenpozyme» è indicato come

terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche del deficit di sfingomielinasi acida (ASMD) di tipo A/B o B in pazienti pediatrici e adulti” il medicinale:

- è stato autorizzato alla rimborsabilità, in fascia H;
- è stato classificato, ai fini della fornitura, come medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti - centri di riferimento indicati dalle regioni per la cura delle malattie rare (RRL).

EVIDENZIATO che l'AIFA per l'indicazione terapeutica sopra riportata ha attribuito al medicinale «Xenpozyme» (Olipudasi alfa) il requisito dell'innovatività terapeutica;

VISTA la delibera A.Li.Sa. n. 32 del 05.02.2024 con la quale sono stati individuati i centri prescrittori del medicinale “Xenpozyme” (olipudasi alfa) per l'indicazione terapeutica: *“terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche del deficit di sfingomielinasi acida (ASMD) di tipo A/B o B in pazienti pediatrici e adulti”*;

VISTA altresì la nota prot. A.Li.Sa. n. 13078 del 04.07.2024 con la quale la Direzione Sanitaria dell'IRCCS Policlinico San Martino ha chiesto l'inserimento dell'U.O. Ematologia e Terapie cellulari del Policlinico nell'elenco dei centri prescrittori del medicinale “Xenpozyme” per l'indicazione “deficit di sfingomielinasi acida”;

RILEVATO che il provvedimento AIFA di autorizzazione del medicinale “Xenpozyme” stabilisce che:

- *“Ai fini della prescrizione e della dispensazione dei medicinali, i medici ed i farmacisti afferenti ai centri utilizzatori specificatamente individuati dalle Regioni dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata disponibile a fronte dell'accesso attraverso il sito istituzionale dell'AIFA, all'indirizzo: web <https://registri.aifa.gov.it>”;*
- *“I medici ed i farmacisti abilitati all'accesso al registro di monitoraggio AIFA dovranno effettuare la prescrizione e dispensazione dei medicinali 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>”;*
- In caso di temporaneo impedimento dell'accesso ai sistemi informativi, i medici ed i farmacisti abilitati dovranno garantire i trattamenti e, successivamente alla disponibilità delle funzionalità informatiche, dovranno comunque inserire i dati dei trattamenti effettuati nella suddetta piattaforma web;

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”;
- Piano Nazionale Malattie Rare 2023 -2026

RICHIAMATA la Delibera A.Li.Sa. n. 318 del 15.12.2023 ed ss.mm.ii. ad oggetto: *“Elenco Regionale dei Centri di Eccellenza (partecipanti alle Reti Europee <ERN>), di Riferimento e di Coordinamento per le Malattie Rare, aggiornamento Dicembre 2023”* 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 Xenpozyme (p.a. olipudasi Alfa) è stato autorizzato per il trattamento della malattia di Niemann-Pick di tipo A/B o B classificata come patologia rara;

PRESO ATTO che ai sensi della sopracitata delibera l'IRCCS Policlinico San Martino è stato individuato quale centro di diagnosi e cura per la Malattia di Niemann-Pick;

PRESO ATTO della richiesta del Policlinico si ritiene di dover confermare, ai fini della prescrizione a carico del SSN, la U.O.C. Ematologia e Terapie cellulari dell'IRCCS Policlinico San Martino già precedentemente individuata con la sopracitata Delibera di A.Li.Sa. n. 318 del 15.12.2023;

CONSIDERATO che l'individuazione dei centri prescrittori regionali ottempera agli obblighi previsti dalla normativa nazionale ai fini della prescrizione a carico del SSN dei medicinali sottoposti a registro o piano terapeutico web AIFA e che, pertanto, i centri individuati alla prescrizione di tali medicinali i sono tenuti ad effettuare la diagnosi e a compilare le schede informatizzate pubblicate sul portale web dell'Agenzia del Farmaco: scheda di eleggibilità, scheda di richiesta farmaco, scheda di dispensazione, scheda di follow up (ove prevista) e scheda di fine trattamento;

RITENUTO pertanto, per dare applicazione alla normativa vigente, di dover provvedere all'integrazione dei centri prescrittori del medicinale soggetto a registro di monitoraggio Aifa «Xenpozyme»;

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 integrare, ai fini della prescrizione a carico del SSN del farmaco "Xenpozyme" (p.a. olipudasi alfa) per l'indicazione terapeutica: *"terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche del deficit di sfingomielinasi acida (ASMD) di tipo A/B o B in pazienti pediatrici e adulti"*, l'elenco dei centri prescrittori con la U.O.C Ematologia e Terapie cellulari dell'IRCCS Policlinico San Martino;
- b) di aggiornare l'elenco dei centri prescrittori come di seguito riportato:

IRCCS G. Gaslini
U.O.C. Gastroenterologia

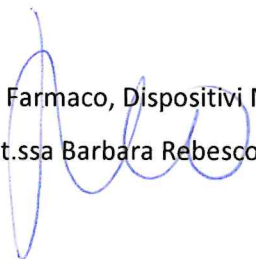
IRCCS San Martino
U.O.C Ematologia e Terapie cellulari
- c) di riservarsi la possibilità di modificare/integrare gli elenchi di cui sopra a seguito delle mutate esigenze assistenziali/organizzative regionali;

- 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 ribadire l'obbligo dei centri autorizzati di garantire l'uso appropriato dei medicinali nel rispetto dei criteri di eleggibilità individuati da AIFA;
- f) di evidenziare che i centri individuati alla prescrizione dei medicinali sottoposti a registro o piano terapeutico web AIFA sono tenuti ad effettuare la diagnosi e a compilare le schede informatizzate pubblicate sul portale web dell'Agenzia del Farmaco: scheda eleggibilità e dati clinici, scheda richiesta farmaco, scheda dispensazione farmaco, scheda rivalutazione e scheda di fine trattamento; nonché attivare tempestivamente le procedure per l'accesso agli eventuali rimborsi previsti dagli accordi negoziali;
- g) di ribadire l'obbligo per le Aziende, gli Enti e gli IRCCS del SSR di assicurare:
- aderenza alla versione aggiornata delle specifiche tecniche: *"Farmaceutica: Erogazione Diretta"* e *"Farmaceutica: Erogazione Ospedaliera"* puntualmente predisposte e trasmesse in coerenza alle disposizioni nazionali sui flussi NSIS dei consumi dei farmaci (erogazione diretta ed erogazione ospedaliera) nonché della compensazione sanitaria interregionale;
 - la completezza, la correttezza e la qualità dei dati registrati sui flussi ministeriali dei consumi dei farmaci (erogazione diretta ed erogazione ospedaliera) con particolare riferimento al codice AIFA e codice di Malattia Rara;
 - la corrispondenza tra i flussi dei consumi dei farmaci e i dati inseriti nei registri di monitoraggio AIFA, in quanto rientra tra gli obiettivi previsti dal Piano Sociosanitario per gli anni 2023-2025, approvato DCR n.19/2023;
- h) 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;
- i) 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 istituito ai sensi dell'articolo 1, comma 401, della legge n.232/2016;
- j) di trasmettere il presente provvedimento alle AA.SS.LL., all'IRCCS Policlinico San Martino, all'IRCCS G. Gaslini, all' E.O. Galliera, all' E.O. Evangelico ed alla SUAR;
- k) di disporre la pubblicazione del presente provvedimento sul proprio albo pretorio on – line;
- l) di disporre la pubblicazione del presente provvedimento sulla sezione farmaceutica del sito web aziendale;

m) di dare atto che il presente provvedimento è composto da n.5 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)

