

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 4 marzo 2024

Regime di rimborsabilita' e prezzo, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche, del medicinale per uso umano «Orkambi». (Determina n. 28/2024). (24A01345)

(GU n.62 del 14-3-2024)

Per il regime di rimborsabilita' e prezzo di vendita del medicinale «Orkambi» (lumacaftor/ivacaftor) - autorizzata con procedura centralizzata europea dalla Commissione europea con la decisione del n. 4640 del 4 luglio 2023 ed inserita nel registro comunitario dei medicinali con il numero:

EU/1/15/1059/008.

Titolare A.I.C.: Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited.

IL DIRETTORE TECNICO-SCIENTIFICO

Visto l'art. 48 del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, recante «Disposizioni urgenti per favorire lo sviluppo e per la correzione dell'andamento dei conti pubblici», convertito, con modificazioni, nella legge 24 novembre 2003, n. 326, che ha istituito l'Agenzia italiana del farmaco e, in particolare, il comma 33, che dispone la negoziazione del prezzo per i prodotti rimborsati dal Servizio sanitario nazionale tra Agenzia e produttori;

Visto il decreto n. 245 del 20 settembre 2004 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze, recante norme sull'organizzazione e il funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco, emanato a norma dell'art. 48, comma 13, sopra citato, come modificato dal decreto n. 53 del Ministero della salute di concerto con i Ministri per la pubblica amministrazione e la semplificazione e dell'economia e delle finanze del 29 marzo 2012;

Visto il regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell'ordinamento del personale dell'Agenzia italiana del farmaco, pubblicato sul sito istituzionale dell'Agenzia (comunicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 140 del 17 giugno 2016) (in appresso «regolamento»);

Visto il decreto del Ministro della salute 9 febbraio 2024 di nomina del dott. Pierluigi Russo quale direttore tecnico-scientifico dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'art. 10-bis del citato decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245 e successive modificazioni;

Vista la determina del direttore generale n. 643 del 28 maggio 2020 con cui e' stato conferito al dott. Trotta Francesco l'incarico di dirigente del Settore HTA ed economia del farmaco;

Vista la legge 24 dicembre 1993, n. 537, concernente «Interventi correttivi di finanza pubblica», con particolare riferimento all'art. 8, comma 10, che prevede la classificazione dei medicinali erogabili a carico del Servizio sanitario nazionale;

Vista la legge 14 dicembre 2000, n. 376, recante «Disciplina della tutela sanitaria delle attivita' sportive e della lotta contro il doping»;

Visto l'art. 48, comma 33-ter del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326, in materia di medicinali soggetti a rimborsabilita'

condizionata nell'ambito dei registri di monitoraggio AIFA;

Visto il regolamento (CE) n. 1901/2006 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 12 dicembre 2006, relativo ai medicinali per uso pediatrico;

Visto il regolamento (CE) n. 1394/2007 del Parlamento europeo e del Consiglio del 13 novembre 2007 sui medicinali per terapie avanzate, recante modifica della direttiva 2001/83/CE e del regolamento (CE) n. 726/2004;

Visto il regolamento (CE) n. 726/2004 del Parlamento europeo e del Consiglio del 31 marzo 2004, che istituisce procedure comunitarie per l'autorizzazione e la vigilanza dei medicinali per uso umano e veterinario e che istituisce l'Agenzia europea per i medicinali;

Visto il decreto legislativo 24 aprile 2006, n. 219, recante «Attuazione della direttiva 2001/83/CE (e successive direttive di modifica) relativa ad un codice comunitario concernente i medicinali per uso umano»;

Visto il decreto del Ministero della salute del 2 agosto 2019 recante «Criteri e modalita' con cui l'Agenzia italiana del farmaco determina, mediante negoziazione, i prezzi dei farmaci rimborsati dal Servizio sanitario nazionale», pubblicato nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 185 del 24 luglio 2020;

Visti gli articoli 11 e 12 del decreto-legge 13 settembre 2012, n. 158, recante «Disposizioni urgenti per promuovere lo sviluppo del Paese mediante un piu' alto livello di tutela della salute», convertito, con modificazioni, nella legge 8 novembre 2012, n. 189, e successive modificazioni ed integrazioni;

Visto l'art. 17 della legge 5 agosto 2022, n. 118, recante «Legge annuale per il mercato e la concorrenza 2021»;

Vista la determina AIFA del 3 luglio 2006, concernente «Elenco dei medicinali di classe A rimborsabili dal Servizio sanitario nazionale (SSN) ai sensi dell'art. 48, comma 5, lettera c), del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, nella legge 24 novembre 2003, n. 326 (Prontuario farmaceutico nazionale 2006)», pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 156 del 7 luglio 2006;

Vista la determina AIFA del 27 settembre 2006, recante «Manovra per il governo della spesa farmaceutica convenzionata e non convenzionata», pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 227 del 29 settembre 2006;

Vista la domanda presentata in data 28 luglio 2023 con la quale la societa' Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited ha chiesto la classificazione, ai fini della rimborsabilita' e la rimborsabilita' della nuova indicazione terapeutica, del medicinale «Orkambi» (lumacaftor/ivacaftor);

Visto il parere espresso dalla Commissione consultiva tecnico-scientifica nella seduta del 10-12 ottobre 2023;

Visto il parere reso dal Comitato prezzi e rimborso nella seduta del 24-28 novembre 2023;

Considerato che per la corretta gestione delle varie fasi della distribuzione, al medicinale debba venir attribuito un numero di identificazione nazionale;

Visti gli atti d'ufficio;

Determina:

Art. 1

Descrizione del medicinale e attribuzione numero A.I.C.

Al medicinale ORKAMBI (lumacaftor/ivacaftor) nella confezione indicata e' attribuito il seguente numero di identificazione nazionale.

Confezione: «75mg/94 mg granulato uso orale» bustina (BOPET/PE/foglio di ALLUMINIO/PE), 56 bustine - A.I.C. n. 044560074/E (in base 10).

Indicazioni terapeutiche:

«Orkambi» granulato e' indicato per il trattamento della fibrosi cistica (FC), in pazienti di eta' pari o superiore a 1 anno omozigoti

per la mutazione F508del nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR).

Art. 2

Classificazione ai fini della rimborsabilita'

Per il medicinale «Orkambi» (lumacaftor/ivacaftor) la nuova indicazione:

«"Orkambi" granulato e' indicato per il trattamento della fibrosi cistica (FC), in pazienti di eta' pari o superiore a 1 anno omozigoti per la mutazione F508del nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR)»;

e la indicazione gia' negoziata,

«"Orkambi" e' indicato per il trattamento della fibrosi cistica (FC), in pazienti di eta' pari o superiore a 2 anni omozigoti per la mutazione F508del nel gene CFTR»;

sono rimborsate come segue:

confezioni:

«75mg/94 mg granulato uso orale» bustina (BOPET/PE/foglio di ALLUMINIO/PE), 56 bustine - A.I.C. n. 044560074/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': A;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 12.994,00;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 21.445,30;

«100 mg/ 125 mg granulato uso orale» bustina (BOPET/PE/foglio di ALLUMINIO/PE), 56 bustine - A.I.C. n. 044560050/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': A;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 12.994,00;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 21.445,30;

«150 mg/ 188 mg granulato uso orale» bustina (BOPET/PE/foglio di ALLUMINIO/PE), 56 bustine - A.I.C. n. 044560062/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': A;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 12.994,00;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 21.445,30.

Sconto obbligatorio sul prezzo ex factory, da praticarsi alle strutture sanitarie pubbliche, ivi comprese le strutture sanitarie private accreditate con il Servizio sanitario nazionale, come da condizioni negoziali.

Note di credito su prezzo ex factory da emettere nei confronti delle strutture acquirenti delle regioni, come da condizioni negoziali.

Tetto di spesa complessivo sull'ex-factory: tetto complessivo per le specialita' «Orkambi», «Kalydeco», «Symkevi» e «Kaftrio», come da condizioni negoziali. Le parti concordano di non rinnovare automaticamente l'accordo, in deroga a quanto previsto dalla normativa vigente. Ai fini della determina dell'importo dell'eventuale sfondamento il calcolo dello stesso verra' determinato sui consumi e in base al fatturato (al netto di eventuale payback del 5% e al netto del payback dell'1,83% e dei payback effettivamente versati, al momento della verifica dello sfondamento, derivanti dall'applicazione dei MEAs previsti) trasmessi attraverso il flusso della tracciabilita' per i canali ospedaliero e diretta e DPC, ed il flusso OSMED per la convenzionata. E' fatto, comunque, obbligo alle aziende di fornire semestralmente i dati di vendita relativi ai prodotti soggetti al vincolo del tetto e il relativo trend dei consumi nel periodo considerato, segnalando, nel caso, eventuali sfondamenti anche prima della scadenza contrattuale. Ai fini del monitoraggio del tetto di spesa, il periodo di riferimento, per i prodotti gia' commercializzati avra' inizio dal mese della pubblicazione del provvedimento nella Gazzetta Ufficiale, mentre, per i prodotti di nuova autorizzazione, dal mese di inizio dell'effettiva commercializzazione. In caso di richiesta di rinegoziazione del tetto di spesa che comporti un incremento dell'importo complessivo attribuito alla specialita' medicinale e/o molecola, il prezzo di rimborso della stessa (comprensivo dell'eventuale sconto obbligatorio al SSN) dovra' essere rinegoziato in riduzione rispetto ai precedenti valori.

Validita' del contratto: accordo integrativo della determina AIFA n. 789/2021 del 1° luglio 2021, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale

della Repubblica italiana - Serie generale - n. 159 del 5 luglio 2021.

Art. 3

Condizioni e modalita' di impiego

Prescrizione del medicinale soggetta a quanto previsto dall'allegato 2 e successive modifiche alla determina AIFA del 29 ottobre 2004 (PHT-Prontuario della distribuzione diretta), pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 259 del 4 novembre 2004, Supplemento ordinario n. 162).

E' aggiornato il registro dedicato al monitoraggio dell'uso del medicinale «Orkambi», a base di lumacaftor/ivacaftor per l'indicazione ammessa alla rimborsabilita': «"Orkambi" granulato e' indicato per il trattamento della fibrosi cistica (FC), in pazienti di eta' pari o superiore a 1 anno omozigoti per la mutazione F508del nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR)».

Ai fini della prescrizione e della dispensazione del medicinale, 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 del medicinale in accordo ai criteri di eleggibilita' 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 a partire dalla data di entrata in vigore della presente determina. Successivamente alla disponibilita' delle funzionalita' informatiche, i medici ed i farmacisti dovranno comunque inserire i dati dei trattamenti effettuati nella suddetta piattaforma web.

Art. 4

Classificazione ai fini della fornitura

La classificazione ai fini della fornitura del medicinale «Orkambi» (lumacaftor/ivacaftor) e' la seguente: medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti - centri di cura fibrosi cistica (RRL).

Art. 5

Disposizioni finali

La presente determina ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana e sara' notificata alla societa' titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Roma, 4 marzo 2024

Il direttore: Russo