
**SIF Novità Regolatorie
Numero 43,
Maggio 2018**

SOMMARIO

Nuove specialità medicinali, variazioni delle indicazioni, ritiri, novità inerenti i registri di monitoraggio e l'Osservatorio Nazionale sulla Sperimentazione Clinica dei medicinali, linee guida, news AIFA

<i>Istituito presso l'AIFA il Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali.....</i>	<i>2</i>
<i>Report EMA sul programma PRIME che supporta lo sviluppo dei medicinali innovativi.....</i>	<i>2</i>
<i>Report di valutazione dell'innovatività</i>	<i>2</i>
<i>Consultazione pubblica EMA su aggiornamento linee guida per la valutazione clinica dei vaccini</i>	<i>3</i>
<i>Registri AIFA: l'Agenzia fornisce informazioni sui dati dei trattamenti con i nuovi farmaci per la cura dell'epatite C</i>	<i>3</i>
<i>Modifica posologia Registri Opdivo.....</i>	<i>3</i>
<i>Modifica Registro Epclusa®, Zepatier®.....</i>	<i>4</i>
<i>Liste di Trasparenza (aggiornamento del 15/05/2018).....</i>	<i>4</i>
<i>Chiusura Managed Entry Agreements (MEA) registri Tyverb®, Torisel®, Imukin ® , Zevalin®... </i>	<i>4</i>
<i>Pubblicazione schede di monitoraggio Registro XALKORI</i>	<i>5</i>
<i>Pubblicazione schede di monitoraggio Registro REVLIMID (MCL).....</i>	<i>6</i>
<i>Aggiornamenti dalle Agenzie Regolatorie</i>	<i>6</i>
<i>Cancro renale avanzato: approvazione europea per cabozantinib in prima linea.....</i>	<i>6</i>
<i>Ictus, via libera europeo ad evolocumab come prevenzione di pazienti con malattia cardiovascolare accertata.....</i>	<i>7</i>
<i>Polineuropatia demielinizzante infiammatoria cronica (CIDP) , approvazione UE per Hizentra (immunoglobulina normale umana).....</i>	<i>7</i>
<i>Artrite psoriasica, parere positivo del CHMP per tofacitinib.....</i>	<i>7</i>
<i>FDA approva un nuovo trattamento per il carcinoma tiroideo anaplastico BRAF-positivo.....</i>	<i>8</i>
<i>FDA estende l'approvazione di Gilenya al trattamento della sclerosi multipla nei pazienti pediatrici.....</i>	<i>8</i>
<i>FDA approva il primo biosimilare dell'epoetina alfa per il trattamento dell'anemia.....</i>	<i>9</i>
<i>FDA approva un nuovo trattamento preventivo per l'emicrania.....</i>	<i>9</i>
<i>FDA approva un nuovo trattamento per la fenilchetonuria.....</i>	<i>10</i>
<i>Normative sui Prontuari Terapeutici Regionali (pubblicate nel mese di Maggio 2018).....</i>	<i>11</i>

Nuove specialità medicinali, variazioni delle indicazioni, ritiri, novità inerenti i registri di monitoraggio e l'Osservatorio Nazionale sulla Sperimentazione Clinica dei medicinali, linee guida, news AIFA

Istituto presso l'AIFA il Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali

È stato costituito il centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici, la cui composizione è disciplinata dal Decreto del Ministro della Salute del 19 aprile 2018.

Il Centro, istituito presso l'Agenzia Italiana del Farmaco, svolgerà compiti di coordinamento, indirizzo e monitoraggio delle attività di valutazione degli aspetti etici relativi alle sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano, demandate ai comitati etici territoriali.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/istituto-presso-l%E2%80%99aifa-il-centro-di-coordinamento-nazionale-dei-comitati-etici-territoriali>

Report EMA sul programma PRIME che supporta lo sviluppo dei medicinali innovativi

L'EMA ha pubblicato un **report** in cui presenta i risultati del programma *PRiority MEdicines scheme* (PRIME), che sostiene e ottimizza lo sviluppo dei medicinali in aree terapeutiche con maggiori bisogni di salute insoddisfatti. L'EMA ha finora ammesso al programma 36 medicinali (21%) su un totale di 177 richieste ricevute e valutate. Il maggior numero di richieste ha riguardato le aree terapeutiche dei farmaci oncologici ed ematologici, seguite dai medicinali per le malattie infettive, neurologiche e per i disturbi psichiatrici.

Dei 36 farmaci ammessi al programma l'83% sono rivolti al trattamento di malattie rare e il 44% al trattamento di pazienti pediatrici.

La consulenza scientifica è uno degli strumenti chiave dell'Agenzia per sostenere lo sviluppo di farmaci di alta qualità, efficaci e sicuri che soddisfino le esigenze dei pazienti.

Ventidue medicinali ammessi al programma PRIME hanno già ricevuto consulenze scientifiche dall'Agenzia (complessivamente 37 richieste, tra cui molti contributi da parte di enti di HTA e pazienti).

L'Agenzia ha già ricevuto le prime tre domande di autorizzazione all'immissione in commercio per medicinali ammessi al programma PRIME. Attualmente sono tutti in fase di valutazione. Il primo parere è previsto entro l'anno.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/report-ema-sul-programma-prime-che-supporta-lo-sviluppo-dei-medicinali-innovativi>

http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news_and_events/news/2018/05/news_detail_002953.jsp&mid=WC0b01ac058004d5c1

http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2018/05/WC500248828.pdf

Report di valutazione dell'innovatività

L'Agenzia Italiana del Farmaco ha aggiornato la pagina dedicata ai farmaci innovativi che consente l'accesso ai report di valutazione dell'innovatività.

Sono disponibili i report per i seguenti farmaci: Darzalex e Vosevi

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/report-di-valutazione-dell%E2%80%99innovativit%C3%A0-10052018>

Consultazione pubblica EMA su aggiornamento linee guida per la valutazione clinica dei vaccini

L'EMA ha rilasciato un aggiornamento delle linee guida sulla valutazione clinica dei vaccini per una consultazione pubblica di sei mesi.

Le linee guida aggiornate contengono, tra l'altro, specifiche considerazioni sugli studi clinici con vaccini in popolazioni speciali, come le donne incinte o gli anziani, e sulle strategie di immunizzazione primaria e di richiamo, inclusa l'opzione della vaccinazione eterologa *prime-boost*. Viene anche affrontata la necessità di sviluppare un vaccino per i patogeni che potrebbero causare epidemie future e per le quali condurre studi clinici in assenza di epidemie reali potrebbe essere problematico.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/consultazione-pubblica-ema-su-aggiornamento-linee-guida-la-valutazione-clinica-dei-vaccini>

Registri AIFA: l'Agenzia fornisce informazioni sui dati dei trattamenti con i nuovi farmaci per la cura dell'epatite C

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha fornito il nuovo aggiornamento relativo ai trattamenti con i nuovi farmaci ad azione antivirale diretta di seconda generazione (DAAs) per la cura dell'epatite C cronica raccolti dai Registri di monitoraggio AIFA.

Nell'ambito del Piano di eradicazione dell'infezione da HCV in Italia, AIFA ha ridefinito i criteri di trattamento per l'Epatite C cronica.

Gli 11 criteri, scaturiti dal dialogo con le Società scientifiche e condivisi con la Commissione Tecnico Scientifica (CTS) dell'Agenzia, consentiranno di trattare tutti i pazienti per i quali è indicata e appropriata la terapia. Inoltre, sarà possibile inserire nei Registri anche i pazienti che, in seguito al fallimento di regimi di trattamento senza interferone, abbiano necessità di essere ritrattati con un'associazione di almeno 2 farmaci antivirali ad azione diretta di seconda generazione (DAAs).

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/registri-aifa-l%E2%80%99agenzia-fornisce-informazioni-sui-dati-dei-trattamenti-con-i-nuovi-farma-227>

<http://www.aifa.gov.it/content/registri-aifa-l%E2%80%99agenzia-fornisce-informazioni-sui-dati-dei-trattamenti-con-i-nuovi-farma-229>

<http://www.aifa.gov.it/content/registri-aifa-l%E2%80%99agenzia-fornisce-informazioni-sui-dati-dei-trattamenti-con-i-nuovi-farma-231>

Modifica posologia Registri Opdivo

Dal giorno 02/05/2018 (data di pubblicazione della EC *decision* e degli stampati aggiornati sul sito della Commissione Europea) l'attuale posologia di Opdivo "3 mg/kg di nivolumab ogni 2

settimane” viene sostituita dalla nuova posologia “ 240 mg ogni 2 settimane” (solo per alcune indicazioni anche da “ 480 mg ogni 4 settimane”). Pertanto, da tale data, la posologia attuale di 3 mg/kg di nivolumab ogni 2 settimane non sarà più *label*.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/modifica-posologia-registri-opdivo-02052018>

Modifica Registro Epclusa®, Zepatier®

La scheda del Registro *web-based* EPCLUSA per il trattamento dell’infezione cronica da virus dell’epatite C (HCV) negli adulti è stata semplificata con le seguenti modifiche:

Eliminazione in scheda di Eleggibilità e Dati Clinici dei seguenti campi: presenza di NS5A RAVs, genotipo IL-28, sezione funzione renale, controindicazioni a IFN

Eliminazione dell’obbligatorietà della rivalutazione a 4-6 settimane dall’inizio del trattamento

Eliminazione dell’obbligatorietà della SVR a 24 settimane dalla fine del trattamento

Al fine di garantire una gestione del monitoraggio del medicinale più flessibile, la scheda del Registro *web-based* ZEPATIER per il trattamento dell’infezione cronica da virus dell’epatite C (HCV) negli adulti è stata semplificata con le seguenti modifiche:

Eliminazione in scheda di Eleggibilità e Dati Clinici dei seguenti campi: profilo di RAVs, genotipo IL-28, sezione funzione renale, controindicazioni a IFN

Eliminazione dell’obbligatorietà della rivalutazione a 4-6 settimane dall’inizio del trattamento

Eliminazione dell’obbligatorietà della SVR a 24 settimane dalla fine del trattamento

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/modifica-registro-epclusa-03052018>

<http://www.aifa.gov.it/content/modifica-registro-zepatier-10052018>

Liste di Trasparenza (aggiornamento del 15/05/2018)

Al fine di consentire alle Regioni e Province autonome una omogenea applicazione di quanto previsto dall’art. 9, comma 5 della Legge 8 agosto 2002, n. 178, l’AIFA ha pubblicato l’elenco dei medicinali e i relativi prezzi di riferimento aggiornati al 15 maggio 2018 comprensivi della riduzione prevista ai sensi della determinazione AIFA del 3 luglio 2006, dell’ulteriore riduzione del 5% ai sensi della determinazione AIFA del 27 settembre 2006, dell’art.9 comma 1, della Legge 28 febbraio 2008 n.31 (*Pay back*) e del comma 9 dell’art.11 del D.L.78/2010 convertito con modificazioni dalla Legge del 30 luglio 2010, n.122.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/liste-di-trasparenza-aggiornamento-del-15052018>

Chiusura Managed Entry Agreements (MEA) registri Tyverb®, Torisel®, Imukin ® , Zevalin®

A partire dal 17/05/2018 non saranno più attive le procedure di condivisione del rischio per il registro TYVERB per le seguenti indicazioni terapeutiche:

trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma mammario, il cui tumore sovraesprime l’HER2 (ErB2):

in associazione con capecitabina nei pazienti con malattia avanzata o metastatica in progressione dopo che i pazienti abbiano ricevuto un trattamento che deve aver incluso antracicline e taxani ed una terapia con trastuzumab per malattia metastatica;

in associazione con un inibitore dell'aromatasi, nelle donne in post-menopausa con malattia metastatica positiva per il recettore ormonale, per le quali al momento non è indicata la chemioterapia. Le pazienti nello studio registrativo non erano state trattate in precedenza con trastuzumab o con un inibitore dell'aromatasi.

Ai fini operativi, si specifica che le procedure di applicazione degli accordi rimarranno attive per i trattamenti con data di prima dispensazione farmaco antecedente al 17/05/2018. Pertanto saranno rimborsabili le confezioni dispensate successivamente al 17/05/2018 solo se riferite ad un trattamento la cui prima dispensazione è antecedente a tale data.

A partire dal 23/05/2018 non saranno più attive le procedure di condivisione del rischio per il registro TORISEL per le seguenti indicazioni terapeutiche:

trattamento di prima linea di pazienti, con carcinoma avanzato a cellule renali, che presentino almeno tre dei sei fattori di rischio prognostici (RCC)

trattamento di pazienti adulti con linfoma a cellule mantellari refrattario e/o recidivante (MCL)

Ai fini operativi, si specifica che le procedure di applicazione degli accordi rimarranno attive per i trattamenti con data di prima dispensazione farmaco antecedente al 23/05/2018. Pertanto saranno rimborsabili le confezioni dispensate successivamente al 23/05/2018 solo se riferite ad un trattamento la cui prima dispensazione è antecedente a tale data.

A partire dal 23/05/2018 termina il monitoraggio del Registro IMUKIN per la seguente indicazione terapeutica:

riduzione della frequenza di infezioni gravi nei pazienti affetti da osteopetrosi grave maligna.

A partire dal 23/05/2018 termina il monitoraggio del Registro ZEVALIN per la seguente indicazione terapeutica:

Trattamento di pazienti adulti affetti da linfoma non Hodgkin (NHL) follicolare a cellule B CD20+, ricaduti o refrattari a rituximab.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/chiusura-managed-entry-agreements-mea-registro-tyverb-17052018>

<http://www.aifa.gov.it/content/chiusura-registro-di-monitoraggio-tyverb-17052018>

<http://www.aifa.gov.it/content/chiusura-managed-entry-agreements-mea-registro-torisel-23052018>

<http://www.aifa.gov.it/content/chiusura-registro-di-monitoraggio-torisel-mcl-23052018>

<http://www.aifa.gov.it/content/chiusura-registro-di-monitoraggio-torisel-rcc-23052018>

<http://www.aifa.gov.it/content/chiusura-registro-di-monitoraggio-imukin-23052018>

<http://www.aifa.gov.it/content/chiusura-registro-di-monitoraggio-zevalin-23052018>

Pubblicazione schede di monitoraggio Registro XALKORI

A seguito della pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale n. 118 del 23/05/2018 della Determina AIFA n. DG/751/2018, a partire dal 07/06/2018 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale XALKORI per la seguente indicazione terapeutica:

trattamento di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (Non-small Cell Lung Cancer, NSCLC) positivo per ROS1 in stadio avanzato

Contestualmente, le procedure di applicazione degli accordi di condivisione del rischio, a partire dal 07/06/2018 non saranno più attive per il registro XALKORI per la seguente indicazione terapeutica:

trattamento di pazienti adulti pretrattati per carcinoma polmonare non a piccole cellule (Non-small Cell Lung Cancer, NSCLC) positivo per ALK (chinasi del linfoma anaplastico) in stadio avanzato

trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (Non-small Cell Lung Cancer, NSCLC) positivo per ALK (chinasi del linfoma anaplastico) in stadio avanzato

Ai fini operativi, si specifica che le procedure di applicazione degli accordi rimarranno attive per i trattamenti con data di prima dispensazione farmaco antecedente al 07/06/2018. Pertanto saranno rimborsabili le confezioni dispensate successivamente al 07/06/2018 solo se riferite ad un trattamento la cui prima dispensazione è antecedente a tale data.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-xalkori-24052018>

<http://www.aifa.gov.it/content/chiusura-managed-entry-agreements-mea-registro-xalkori-24052018>

Pubblicazione schede di monitoraggio Registro REVLIMID (MCL)

A partire dal 25/05/2018 è possibile utilizzare, in [regime di rimborsabilità SSN](#), il medicinale REVLIMID per le seguenti indicazioni terapeutiche:

Trattamento in monoterapia di pazienti adulti con linfoma mantellare recidivato o refrattario. indicato per la monoterapia di mantenimento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi sottoposti a trapianto autologo di cellule staminali.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-revlimid-mcl-25052018>

<http://www.aifa.gov.it/content/pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-revlimid-mm-25052018>

Aggiornamenti dalle Agenzie Regolatorie

Cancro renale avanzato: approvazione europea per cabozantinib in prima linea

La Commissione europea ha approvato l'impiego di cabozantinib (20, 40 e 60 mg) nel trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule renali a rischio di progressione "intermediate o poor" secondo l'*International Metastatic Renal Cell Carcinoma Database Consortium* (IMDC).

L'approvazione si basa sullo studio CABOSUN, che ha dimostrato un prolungamento della sopravvivenza libera da progressione (PFS) con cabozantinib in pazienti con carcinoma a cellule renali avanzato a rischio intermediate o alto e naïve alla terapia. Cabozantinib rappresenta la prima e unica monoterapia a dimostrare una efficacia clinica superiore a sunitinib in pazienti con carcinoma a cellule renali avanzato a rischio intermediate o *poor* naïve alla terapia.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news_and_events/news/2016/07/news_detail_002577.jsp&mid=WC0b01ac058004d5c1

Ictus, via libera europeo ad evolocumab come prevenzione di pazienti con malattia cardiovascolare accertata

La Commissione Europea ha approvato una nuova indicazione per evolocumab in pazienti con malattia cardiovascolare aterosclerotica accertata (infarto del miocardio, ictus o arteriopatia periferica), per ridurre il rischio cardiovascolare abbassando i livelli di colesterolo lipoproteico a bassa densità (C-LDL).

L'approvazione da parte della Commissione Europea riconosce i risultati positivi dello studio FOURIER includendo, nell'indicazione, l'impiego di evolocumab in pazienti con malattia cardiovascolare aterosclerotica accertata (infarto del miocardio, ictus o arteriopatia periferica) per ridurre il rischio cardiovascolare in aggiunta alla massima dose tollerata di statine. Nello studio FOURIER sono state evidenziate riduzioni del rischio di infarto del 27%, del rischio di ictus del 21% e del rischio di procedure di rivascolarizzazione coronarica del 22% nei pazienti trattati con evolocumab e statine, rispetto ai pazienti in terapia con placebo e statine per una durata mediana di 26 mesi.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.pharmastar.it/news/ema/ictus-via-libera-europeo-ad-evolocumab-come-prevenzione-di-pazienti-con-malattia-cardiovascolare-accertata--26756>

Polineuropatia demielinizzante infiammatoria cronica (CIDP) , approvazione UE per Hizentra (immunoglobulina normale umana)

La Commissione Europea ha concesso l'autorizzazione per la commercializzazione di Hizentra (immunoglobulina normale umana) come prima ed unica immunoglobulina sottocutanea (SCIg) per la terapia di mantenimento in pazienti affetti da polineuropatia demielinizzante infiammatoria cronica (CIDP), dopo stabilizzazione con immunoglobuline per via endovenosa (IVIg). L'approvazione si basa sui dati ottenuti dallo studio di fase III PATH (*Polyneuropathy And Treatment with Hizentra*), il più grande trial clinico randomizzato controllato con placebo in pazienti affetti da CIDP. Il programma "PATH", che comprende lo studio pivotal e la sua fase di estensione in aperto, rappresenta, ad oggi, il più lungo progetto di ricerca sulla CIDP.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.pharmastar.it/news/ema/polineuropatia-demielinizzante-infiammatoria-cronica-cidp-approvazione-ue-per-hizentra-immunoglobulina-normale-umana-26673>

Artrite psoriasica, parere positivo del CHMP per tofacitinib

Il Comitato dell'Agenzia Europea per i Medicinali per uso umano (CHMP) ha espresso parere positivo, raccomandando tofacitinib citrate 5 mg due volte al giorno (BID) per il trattamento dell'Artrite Psoriasica attiva (PsA) in combinazione con methotrexate (MTX) in pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata o che sono intolleranti ad uno o più farmaci antireumatici modificanti la malattia (DMARDs). Il parere positivo del CHMP si è basato sui dati del programma di sviluppo clinico di fase 3 denominato OPAL (*Oral Psoriatic Arthritis Trial*), che consisteva in due studi cardine, OPAL Broaden e OPAL Beyond, così come sui dati a lungo termine del prolungamento dello studio OPAL Balance in corso. I risultati di OPAL

Broaden and OPAL Beyond sono stati pubblicati lo scorso ottobre sul *New England Journal of Medicine*.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.pharmastar.it/news/ema/artrite-psoriasica-parere-positivo-del-chmp-per-tofacitinib-26639>

FDA approva un nuovo trattamento per il carcinoma tiroideo anaplastico BRAF-positivo

FDA ha approvato Tafinlar® (dabrafenib) e Mekinist® (trametinib), somministrati in associazione, per il trattamento del carcinoma tiroideo anaplastico (ATC), che non può essere rimosso chirurgicamente o metastatico, positivo alla mutazione BRAF V600E.

Sia Tafinlar che Mekinist erano già stati approvati per il trattamento, singolarmente o in associazione, del melanoma metastatico e, in associazione, per il trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule metastatico, positivi alla mutazione BRAF V600E.

L'efficacia di Tafinlar® e Mekinist® nel trattamento dell'ATC è stata dimostrata in uno studio clinico in aperto che ha misurato la percentuale di pazienti con una riduzione totale o parziale della dimensione del tumore (tasso di risposta globale). Di 23 pazienti valutabili, il 57% ha avuto una risposta parziale e il 4% una risposta completa; in 9 dei 14 pazienti con risposte (il 64% dei casi), non si sono verificati aumenti significativi del tumore per sei mesi o più.

FDA ha approvato questa ulteriore indicazione di Tafinlar e Mekinist, designata *Breakthrough Therapy* e farmaco orfano, con *Priority Review*.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/fda-approva-un-nuovo-trattamento-il-carcinoma-tiroideo-anaplastico-braf-positivo>

FDA estende l'approvazione di Gilenya al trattamento della sclerosi multipla nei pazienti pediatrici

FDA ha approvato Gilenya (fingolimod) per il trattamento della sclerosi multipla recidivante (SM) nei bambini maggiori di 10 anni di età. Si tratta della prima approvazione da parte dell'FDA di un farmaco per il trattamento della SM nei pazienti pediatrici.

Gilenya è stato approvato per la prima volta dall'FDA nel 2010, per il trattamento degli adulti con SM recidivante.

La sperimentazione clinica che ha valutato l'efficacia di Gilenya nel trattamento di pazienti pediatrici con SM ha incluso 214 pazienti di età compresa tra 10 e 17 anni e ha confrontato Gilenya con un altro farmaco per la SM, l'interferone beta-1a. Nello studio, l'assenza di recidive dopo 24 mesi di trattamento è stata raggiunta nell'86% dei pazienti trattati con Gilenya, rispetto al 46% di quelli trattati con interferone beta-1a.

Gli effetti collaterali di Gilenya nei partecipanti al trial pediatrico erano simili a quelli osservati negli adulti. I più comuni sono stati mal di testa, aumento degli enzimi epatici, diarrea, tosse, influenza, sinusite, mal di schiena, dolore addominale e alle estremità.

L'FDA ha esteso l'approvazione di Gilenya, designato *Breakthrough Therapy*, con *Priority Review*.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/fda-estende-l%E2%80%99approvazione-di-gilenya-al-trattamento-della-sclerosi-multipla-nei-pazienti-pe>

FDA approva il primo biosimilare dell'epoetina alfa per il trattamento dell'anemia

FDA ha approvato Retacrit (epoetina alfa-epbx), biosimilare di Epogen/Procrit (epoetina alfa), per il trattamento dell'anemia causata da malattia renale cronica, chemioterapia o uso di zidovudina in pazienti con infezione da HIV. Retacrit è approvato anche per l'uso prima e dopo l'intervento chirurgico per ridurre la possibilità che siano necessarie trasfusioni.

L'approvazione da parte dell'FDA di Retacrit si basa su una revisione di prove che includevano un'ampia caratterizzazione strutturale e funzionale, dati di studi su animali, dati farmacocinetici e farmacodinamici, dati di immunogenicità clinica e altri dati clinici di sicurezza ed efficacia che ne hanno dimostrato la biosimilarità rispetto a Epogen/Procrit. Retacrit è stato approvato come biosimilare, non come prodotto intercambiabile.

Come Epogen/Procrit, Retacrit deve essere dispensato con una *Medication Guide* per il paziente che fornisce informazioni sugli usi e i rischi del farmaco e contiene un *Boxed Warning* per avvisare gli operatori sanitari e i pazienti di un aumento dei rischi di morte, problemi cardiaci, ictus e crescita o recidiva del tumore. Ulteriori avvertenze includono ipertensione, convulsioni, anemia, gravi reazioni allergiche e cutanee.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/fda-approva-il-primo-biosimilare-dell%E2%80%99epoetina-alfa-il-trattamento-dell%E2%80%99anemia>

<https://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm607703.htm>

FDA approva un nuovo trattamento preventivo per l'emicrania

FDA ha approvato Aimovig (erenumab-aooe) per il trattamento preventivo dell'emicrania negli adulti. Il medicinale, il primo approvato dall'Agenzia statunitense per la prevenzione dell'emicrania, agisce bloccando l'attività del peptide correlato al gene della calcitonina, una molecola coinvolta negli attacchi di emicrania. Il trattamento deve essere somministrato una volta al mese, con autoiniezioni.

L'efficacia di Aimovig per il trattamento preventivo dell'emicrania è stata valutata in tre studi clinici. Il primo ha incluso 955 partecipanti con una storia di emicrania episodica e ha confrontato Aimovig con il placebo. Nel corso di sei mesi, i pazienti trattati con Aimovig hanno avuto, in media, da uno a due giorni di emicrania mensile in meno rispetto a quelli trattati con placebo. Il secondo studio ha incluso 577 pazienti, anch'essi con una storia di emicrania episodica. Nel corso di tre mesi, i pazienti trattati con Aimovig hanno avuto in media un mese di emicrania in meno al mese rispetto a quelli trattati con placebo. Il terzo studio ha valutato invece 667 pazienti con una storia di emicrania cronica. Nel corso di tre mesi, i pazienti trattati con Aimovig hanno avuto, in media, due giorni e mezzo in meno di emicrania mensile rispetto a quelli trattati con placebo.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/fda-approva-un-nuovo-trattamento-preventivo-l%E2%80%99emicrania>

<https://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm608120.htm>

FDA approva un nuovo trattamento per la fenilchetonuria

FDA ha approvato Palynziq (pegvaliase-pqpz), una nuova terapia enzimatica per gli adulti con fenilchetonuria (PKU), una malattia genetica rara e grave dovuta all'incapacità di scomporre la fenilalanina.

La sicurezza e l'efficacia di Palynziq sono state verificate in due studi clinici su pazienti adulti con PKU con concentrazioni di fenilalanina nel sangue superiori a 600 μmol /L. La maggior parte dei pazienti con PKU coinvolti negli studi ha seguito una dieta senza restrizioni prima e durante i trial. Il primo studio, randomizzato, in aperto, è stato effettuato su pazienti trattati con dosi crescenti di Palynziq, somministrato per iniezione sottocutanea fino a una dose target di 20 mg o 40 mg una volta al giorno. Il secondo, invece, randomizzato, controllato con placebo, della durata di 8 settimane, ha coinvolto pazienti precedentemente trattati con Palynziq. I pazienti trattati con Palynziq hanno raggiunto riduzioni statisticamente significative delle concentrazioni di fenilalanina nel sangue rispetto a quelle pre-trattamento.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.aifa.gov.it/content/fda-approva-un-nuovo-trattamento-la-fenilchetonuria>

<https://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm608120.htm>

<https://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm608835.htm>

*Prontuari regionali***Normative sui Prontuari Terapeutici Regionali (pubblicate nel mese di Maggio 2018)**

Oggetto	Regione	Tipo atto	Numero
Riparto delle risorse di FSN e FSR da destinare alle strutture sanitarie della Regione Sicilia per l'anno 2017	Sicilia	Decreto Assessorile	867
Rete regionale per le malattie rare di cui alle Delibere di Giunta regionale n. 160/2004 e n. 1351/2017. Aggiornamento 2018	Emilia Romagna	Delibera Giunta Regionale	695
Integrazione modalità prescrittive Arixtra (p.a. fondaparinux)	Campania	Circolare	09.05.2018
Integrazione elenco centri prescrittori medicinale "Ocaliva"	Lombardia	Circolare	10.05.2018
Integrazione elenco centri prescrittori medicinale "Jinarc"	Lombardia	Circolare	10.05.2018
Determinazione AIFA n. 1392/2017 in merito alla specialità medicinale per uso umano Ocaliva (acido obeticolico). Ricognizione ed aggiornamento dei Centri prescrittori autorizzati	Puglia	Circolare	14.05.2018
Determinazione AIFA n. 616/2018 in merito alla specialità medicinale per uso umano Darzalex (Daratumumab). Regime di rimborsabilità a seguito di nuove indicazioni terapeutiche. Centri autorizzati dalla Regione alla prescrizione e alla dispensazione	Puglia	Circolare	09.05.2018
Determinazione AIFA n. 416/2018 in merito alla specialità medicinale per uso umano Otezla (Apremilast). Regime di rimborsabilità a seguito di nuova indicazione terapeutica. Aggiornamento Piano Terapeutico (PT) per la psoriasi cronica a placche e artrite	Puglia	Circolare	09.05.2018
Centri ospedalieri abilitati alla prescrizione dei medicinali antivirali, ad oggi in commercio, ad azione diretta (DAA) sul virus dell'epatite C: modifiche ed integrazioni alla DGR n.1254/2017	Toscana	Delibera Giunta Regionale	546
Aggiornamento parziale del Prontuario Terapeutico Regionale di cui alla DGR n. 56/94 del 29 dicembre 2009	Sardegna	Decreto Assessorile	17
Aggiornamento dei centri regionali autorizzati alla prescrizione dei farmaci con piano terapeutico a gennaio 2018	Emilia Romagna	Determinazione	6824
Aggiornamento aprile 2018 del Prontuario terapeutico regionale	Emilia Romagna	Determinazione	6822

Fonte della tabella: Azygos srl

SIF Novità Regolatorie n°43 - Maggio 2018 - Newsletter della Società Italiana di Farmacologia (SIF)EDICOLA VIRTUALE SIF - Archivio numeri pubblicati: https://www.sifweb.org/edicola_virtuale

Registrazione del Tribunale di Milano n° 214 del 02/07/2015 - ISSN 2465-1362

Direttore responsabile: Prof. Filippo Drago

Hanno collaborato a questo numero: Lucia Gozzo (Università di Catania), Laura Longo (Centro Regionale di Farmacovigilanza, AOU Policlinico-Vittorio Emanuele, Catania), Silvana Mansueto (Centro Regionale di Farmacovigilanza, AOU Policlinico-Vittorio Emanuele, Catania), Daniela C. Vitale (Centro Regionale di Farmacovigilanza, AOU Policlinico-Vittorio Emanuele, Catania), Giuseppe Benfatto (Centro Regionale di Farmacovigilanza, AOU Policlinico-Vittorio Emanuele, Catania).

DISCLAIMER - Leggere attentamente

"I pareri e le valutazioni espresse nella presente pubblicazione non costituiscono opinioni (e come tale non corrispondono necessariamente a quelle) della SIF, ma piuttosto devono unicamente riferirsi alle opinioni di colui/coloro che hanno redatto l'articolo e delle relative fonti bibliografiche".

SIF, Società Italiana di Farmacologia, si propone di pubblicare sul proprio sito internet www.sifweb.org informazioni precise ed aggiornate, ma non si assume alcuna responsabilità né garantisce la completezza ed esaustività delle informazioni messe a disposizione.

In particolare, SIF precisa che le risposte fornite ai quesiti medico / tossicologici sono fornite sulla base della raccolta di fonti bibliografiche esistenti (rispetto alle quali non si garantisce la esaustività). Pertanto, dalle risposte ai quesiti non devono essere tratte conclusioni se non un mero richiamo alle fonti presenti in letteratura.

La SIF, inoltre, avvisa gli utenti che le informazioni contenute nel proprio sito e le risposte ai quesiti hanno finalità meramente divulgative, informative ed educative e non possono in alcun modo sostituire la necessità di consultare il Ministero della Salute, l'Istituto Superiore di Sanità e più in generale le Istituzioni nazionali ed internazionali attive in materia.

IL SITO INTERNET DI SIF E LE RISPOSTE AI QUESITI NON DEVONO IN ALCUN MODO ESSERE CONSIDERATI PARERI MEDICI.

SIF, quindi, declina ogni responsabilità circa l'utilizzo del proprio sito, delle informazioni in esso contenute e delle risposte ai quesiti ed avverte l'utente che ogni e qualsiasi contenuto ed informazione del sito (comprese le risposte ai quesiti) sarà utilizzata sotto diretta e totale responsabilità dell'utente stesso. Né SIF, né alcuna altra parte implicata nella creazione, realizzazione e pubblicazione del sito internet di SIF e nelle redazioni delle risposte ai quesiti possono essere ritenute responsabili in alcun modo, né per alcun danno diretto, incidentale, conseguente o indiretto che deriva dall'accesso, uso o mancato uso di questo sito o di ogni altro ad esso collegato, o di qualunque errore od omissione nel loro contenuto.

Gli autori e redattori del "Centro SIF di Informazione sul Farmaco" sono Farmacologi, Medici, Farmacisti e Biologi, e quanto riportato deriva da affidabili ed autorevoli fonti e studi scientifici, accompagnato dai relativi estratti o riferimenti bibliografici alle pubblicazioni. In ogni caso, le informazioni fornite, le eventuali nozioni su procedure mediche, posologie, descrizioni di farmaci o prodotti d'uso sono da intendersi come di natura generale ed a scopo puramente divulgativo ed illustrativo. Non possono, pertanto, sostituire in nessun modo il consiglio del medico o di altri operatori sanitari.

Le informazioni fornite da "La SIF Risponde", unicamente tramite posta elettronica (webmaster@sifweb.org), possono riguardare dati a disposizione su principi attivi ma non sulle patologie in oggetto, né eventuali indicazioni relative a nominativi di medici o altre figure professionali.

Nulla su <http://www.sifweb.org>, sulle relative newsletter, e-mails, o qualsiasi dei progetti della SIF, può essere interpretato come un tentativo di offrire o rendere un'opinione medica o in altro modo coinvolta nella pratica della Medicina. La Società Italiana di Farmacologia, i suoi Soci od altre parti ed essa connesse non possono, quindi, essere ritenuti responsabili circa risultati o conseguenze di qualunque utilizzo o tentato utilizzo di una qualsiasi delle informazioni riportate. Il servizio è totalmente gratuito e non esistono conflitti di interesse o finalità di lucro. Non sono ammesse la divulgazione e la diffusione di "SIF Novità Regolatorie" senza precedente autorizzazione scritta della Società Italiana di Farmacologia.

Ricezione newsletter

La Società dichiara che i dati personali comunicati dall'utente sono trattati in conformità alle disposizioni del D. Lgs. 196/2003 ed alla normativa comunitaria secondo quanto indicato specificamente nell'informativa privacy reperibile sul sito internet della Società all'indirizzo https://sif-website.s3.amazonaws.com/uploads/attachment/file/240/Informativa_Privacy_SIF_Generica.pdf che l'utente, con la sottoscrizione del presente Contratto, dichiara di aver compiutamente visionato, compreso e accettato. Qualora non intendeste ricevere ulteriori comunicazioni vi preghiamo di inviare una risposta all'indirizzo sif.farmacologia@segr.it con oggetto: CANCELLA.

Società Italiana di Farmacologia

Segreteria Organizzativa: Viale Abruzzi 32 - 20131 Milano - Sede operativa: Via Giovanni Pascoli 3 - 20129 Milano

Tel 02 29520311 - Fax 02 29520179 - Sito Web: <http://www.sifweb.org> - E-mail: sif.informazione@segr.it; sif.farmacologia@segr.it.