

**Bollettino  
Novità Regolatorie  
in Ambito Ospedaliero**  
**N. 08/2024**

O  
T  
T  
O  
B  
R  
E  
  
2  
0  
2  
4

Gentile Dottore,

il Bollettino Novità Regolatorie che riceve ha lo scopo di fornirle alcune delle più importanti informazioni sulle discipline regolatorie del farmaco (es. nuove immissioni in commercio, modifica dell'autorizzazione, avvio o chiusura registri di monitoraggio) provenienti sia dall'Autorità Competente nazionale (AIFA) ma anche dall'Assessorato regionale della Salute che emana periodicamente disposizioni relative all'impiego dei medicinali sul territorio siciliano.

La continua evoluzione della normativa relativa alle modalità di utilizzo e prescrizione dei farmaci impone, infatti, sempre maggiore attenzione da parte dei medici al rispetto delle direttive che definiscono la prescrivibilità dei medicinali, che non sempre si traduce in un'automatica rimborsabilità a carico del SSN.

Le ricordiamo, a tal proposito, che l'appropriatezza prescrittiva non può prescindere dalla conoscenza degli aggiornamenti regolatori dei medicinali, tenuto conto che una prescrizione farmacologica può essere considerata appropriata se effettuata all'interno delle indicazioni cliniche e modalità di utilizzo (dose, durata del trattamento, via di somministrazione) approvate da un'Autorità Regolatoria sulla base di un dimostrato profilo beneficio/rischio favorevole.

#### In questo numero...

- Nasce "COSISiFA", progetto di informazione indipendente sui farmaci..... 3
- Aggiornamento sul Registro Studi Osservazionali..... 3
- Monitoraggio della spesa farmaceutica: aggiornamento gennaio - aprile 2024.... 4
- Attivazione del Registro di Monitoraggio di Jaypirca® (pirtobrutinib)..... 4
- Attivazione del Registro di Monitoraggio di Enjaymo® (sutimlimab)..... 4
- Sviluppo scientifico dei dati del registro di monitoraggio AIFA di Jakavi® (ruxolitinib)..... 5
- Attivazione del Registro di Monitoraggio di Aquipta® (atogepant)..... 5

#### Focus Regione Sicilia

- Aggiornamento n. 94 del PTORS..... 6
- Approvazione del Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale per il trattamento dei pazienti affetti da cefalea nella Regione Siciliana..... 6



O  
T  
T  
O  
B  
R  
E  
2  
0  
2  
4

# Bollettino Novità Regolatorie in Ambito Ospedaliero

**Newsletter mensile di Novità Regolatorie**

<https://www.policlinicorodolicosanmarco.it/professionista/centro-di-farmacovigilanza/bollettini-di-farmacovigilanza/>

**Direttore responsabile**

Filippo Drago

Direttore P.I. di Farmacologia Clinica/Centro Regionale di Farmacovigilanza,  
AOU Policlinico “G. Rodolico – San Marco”, Catania

**Redazione**

Lucia Gozzo

Dirigente Medico Centro Regionale di Farmacovigilanza,  
AOU Policlinico “G. Rodolico – San Marco”, Catania

Laura Longo

Dirigente Farmacista Centro Regionale di Farmacovigilanza,  
AOU Policlinico “G. Rodolico – San Marco”, Catania

Daniela C. Vitale

Dirigente Farmacista Centro Regionale di Farmacovigilanza,  
AOU Policlinico “G. Rodolico – San Marco”, Catania

# Bollettino Novità Regolatorie in Ambito Ospedaliero

O  
T  
T  
O  
B  
R  
E  
2  
0  
2  
4

## *Nasce “COSIsiFA”, progetto di informazione indipendente sui farmaci*

Il progetto “COSIsiFA” (Cittadini e Operatori Sanitari sempre informati sul Farmaco) è un network AIFA-Regioni-Istituzioni Sanitarie di informazione indipendente sui farmaci che si pone l’obiettivo di diffondere sul territorio nazionale notizie, informazioni, studi e dati relativi all’utilizzo dei medicinali, veicolando informazioni indispensabili per garantire un uso più appropriato degli stessi. Sono previste quattro aree di intervento: pediatria, oncologia, antibiotico-resistenza, cronicità e polifarmacoterapia. Nell’ambito del progetto sono previsti 9 gruppi di lavoro, che si occuperanno dell’informazione scientifica per le quattro aree di intervento e della diffusione di bollettini, newsletter-website, social, app, formazione e revisioni sistematiche degli studi.

L’informazione indipendente sarà rivolta a operatori sanitari, pazienti, associazioni e cittadini. I materiali informativi saranno divulgati prevalentemente in modalità on-line sul sito web del progetto. Inoltre, sono previste giornate di formazione e corsi rivolti ad operatori sanitari e cittadini.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/cosisifa-nasce-il-network-aifa-regioni-istituzioni-sanitarie-per-l-informazione-indipendente-sui-farmaci>

## *Aggiornamento sul Registro Studi Osservazionali*

A seguito della pubblicazione della nuova Linea Guida per la classificazione e conduzione degli studi osservazionali sui farmaci, sono state aggiornate anche le informazioni inerenti al Registro degli Studi Osservazionali (RSO).

Nello specifico, sono state inserite nuove sezioni relative alla registrazione di studi retrospettivi relativi a usi non autorizzati, ad esempio usi off-label ai sensi della Legge 648/96, valutazione a posteriori di dati raccolti per farmaci non ancora in commercio o usati in indicazioni non autorizzate, come gli usi compassionevoli.

In accordo al DM 30 novembre 2021, gli studi osservazionali prospettici farmacologici possono essere avviati solo dopo aver ricevuto parere favorevole da parte del CET/CEN, valido per tutti i centri nei quali sarà svolto lo studio. La normativa vigente, infatti, prevede che la valutazione degli studi osservazionali e dei relativi emendamenti sia in capo ad un solo CET/CEN, di per sé indipendente dai Centri. Il Comitato etico è indicato dal Promotore, così come avviene per le sperimentazioni cliniche.

L’RSO sviluppato in base alla normativa precedente presenta ancora la vecchia terminologia di Comitato etico coordinatore e di Comitati etici satellite con i relativi flussi, non più applicabili. Nelle more dell’aggiornamento del sistema, per tali aspetti, sono riportate nel documento le indicazioni operative per la gestione dei nuovi studi.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

[https://www.aifa.gov.it/documents/20142/1654269/Aggiornamento\\_disposizioni\\_RSO.pdf](https://www.aifa.gov.it/documents/20142/1654269/Aggiornamento_disposizioni_RSO.pdf)

# Bollettino Novità Regolatorie in Ambito Ospedaliero

O  
T  
T  
O  
R  
E  
2  
0  
2  
4

## ***Monitoraggio della spesa farmaceutica: aggiornamento gennaio - aprile 2024***

L'AIFA ha pubblicato i dati relativi al monitoraggio mensile della spesa farmaceutica nazionale e regionale per il periodo gennaio - aprile 2024.

Il monitoraggio della spesa farmaceutica è condotto sulla base dei dati di spesa convenzionata e delle Distinte Contabili Riepilogative (DCR) acquisite dalle Regioni, nonché dei dati acquisiti dal Nuovo Sistema Informativo Nazionale (SIS) del Ministero della Salute, relativi alla tracciabilità del farmaco (DM 15 luglio 2004).

Il documento riporta le seguenti sezioni: verifica del tetto della spesa farmaceutica convenzionata (6,80% del fabbisogno sanitario nazionale) calcolata su FSN 2024 provvisorio (importo pari a 132.674.084.232 €); verifica del tetto della spesa farmaceutica per acquisti diretti al netto dei gas medicinali (8,30% del fabbisogno sanitario nazionale) calcolata su FSN 2024 provvisorio; spesa per farmaci innovativi e verifica dell'eventuale eccedenza di spesa rispetto al fondo innovativi previsto dal Decreto Legge 25 maggio 2021 n 73; verifica del tetto della spesa farmaceutica per acquisti diretti relativi ai gas medicinali (0,20% del fabbisogno sanitario nazionale) calcolata su FSN 2024 provvisorio; spesa farmaceutica complessiva gennaio-aprile 2024 e verifica del rispetto delle risorse complessive.

Maggiori informazioni sono disponibili ai seguenti link:

<https://www.aifa.gov.it/monitoraggio-spesa-farmaceutica>

## ***Attivazione del Registro di Monitoraggio di Jaypirca® (pirtobrutinib)***

A seguito della pubblicazione della Determina AIFA nella GU n. 248 del 22/10/2024, a partire dal 23/10/2024 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale Jaypirca® (pirtobrutinib) per la seguente indicazione terapeutica:

- *JAYPIRCA in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da linfoma a cellule mantellari (mantle cell lymphoma, MCL) recidivante o refrattario che sono stati precedentemente trattati con un inibitore della tirosin chinasi di Bruton (Bruton's tyrosine kinase, BTK).*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

[https://www.aifa.gov.it/documents/20142/847786/Determina\\_601-2024\\_Jaypirca.pdf](https://www.aifa.gov.it/documents/20142/847786/Determina_601-2024_Jaypirca.pdf)

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-jaypirca>

## ***Attivazione del Registro di Monitoraggio di Enjaymo® (sutimlimab)***

A seguito della pubblicazione della Determina AIFA nella GU n. 244 del 17/10/2024, a partire dal 18/10/2024 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale Enjaymo® (sutimlimab) per la seguente indicazione terapeutica:

- *trattamento dell'anemia emolitica di grado da moderato a grave (Hb ≤ 10 g/dl) in pazienti adulti affetti da CAD primaria unfit, non-responder o ricaduti dopo un precedente trattamento con rituximab.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-enjaymo>

[https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina\\_529-2024\\_Enjaymo.pdf](https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_529-2024_Enjaymo.pdf)

# Bollettino Novità Regolatorie in Ambito Ospedaliero

O  
T  
T  
O  
B  
R  
E

2  
0  
2  
4

## *Sviluppo scientifico dei dati del registro di monitoraggio AIFA di Jakavi® (ruxolitinib)*

L'AIFA e la Società Italiana di Ematologia (S.I.E.), hanno reso disponibili i dati contenuti nel Registro di Monitoraggio del medicinale Jakavi® (ruxolitinib) dei pazienti in trattamento per l'indicazione mielofibrosi mediante una pubblicazione scientifica sulla rivista British Journal of Haematology.

Lo studio ha riguardato un'ampia coorte italiana di 3494 pazienti avviati al trattamento tra l'ottobre 2014 e l'aprile 2020 e inseriti nel registro di monitoraggio AIFA. L'obiettivo dell'analisi era quello di rilevare eventuali differenze associate alla dose di partenza in termini di sopravvivenza. La maggior parte dei pazienti (n=2.337; 66,9%) hanno iniziato con una dose ridotta. Questi pazienti erano anziani (età mediana 70 vs. 67), con una maggiore incidenza di splenomegalia estesa (diametro longitudinale 20 vs. 19,1 cm, volume mediano 1.064 cm<sup>3</sup> vs. 1.016 cm<sup>3</sup>), con un rischio IPSS più elevato (30,9% contro 26,1%) e un punteggio ECOG peggiore (più di 1 su 14,3% contro 9,8%). Dopo aver bilanciato le caratteristiche basali, l'analisi di Kaplan-Meier ha mostrato una OS mediana di 78,2 mesi (IC al 95% 65,9-89) per i pazienti che hanno iniziato con la dose piena e di 52,6 (IC al 95% 49-56,6) mesi per i pazienti che hanno iniziato con la dose ridotta ( $p < 0,001$ ). L'analisi di gruppo ha mostrato anche una differenza sostanziale nei pazienti con rischio IPSS intermedio-2 e alto. L'analisi di real world ha dimostrato che la maggior parte dei pazienti con mielofibrosi ha iniziato il trattamento con una dose ridotta di ruxolitinib che è stata associata a esiti meno favorevoli.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/sviluppo-scientifico-dei-dati-dei-registri-di-monitoraggio-aifa-4>

Breccia M, Celant S, Palandri F, Passamonti F, Olimpieri PP, Summa V, et al. The impact of starting dose on overall survival in myelofibrosis patients treated with ruxolitinib: A prospective real-world study on AIFA monitoring registries. Br J Haematol. 2024; 00: 1-8.  
<https://doi.org/10.1111/bjh.19812>

## *Attivazione del Registro di Monitoraggio di Aquipta® (atogepant)*

A seguito della pubblicazione della Determina AIFA nella GU n. 233 del 04/10/2024, a partire dal 05/10/2024 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale Aquipta® (atogepant) per la seguente indicazione terapeutica:

- *Trattamento dei pazienti adulti che negli ultimi 3 mesi abbiano presentato almeno 8 giorni di emicrania disabilitante al mese [definita come punteggio del questionario MIDAS  $\geq 11$ ], già trattati con altre terapie di profilassi per l'emicrania e che abbiano mostrato una risposta insufficiente dopo almeno 6 settimane di trattamento o che siano intolleranti o che presentino chiare controindicazioni ad almeno 3 precedenti classi di farmaci per la profilassi dell'emicrania.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-aquipta>

[https://www.aifa.gov.it/documents/20142/847786/Determina\\_506-2024\\_Aquipta.pdf](https://www.aifa.gov.it/documents/20142/847786/Determina_506-2024_Aquipta.pdf)

# Bollettino Novità Regolatorie in Ambito Ospedaliero

## Focus Regione Sicilia

### Aggiornamento n. 94 del PTORS

Con la nota prot. n. 45814 del 16/10/2024 è stato pubblicato dall'Assessorato Regionale della Salute l'aggiornamento n. 94 del PTORS.

In particolare, con il suddetto aggiornamento sono stati inseriti nel Prontuario Regionale:

- Nuovi principi attivi: betaina, deucravacitinib, futibatinib, ritlecitinib, teclistamab, decitabina+cedazuridina, nivolumab+relatlimab, epcoritamab;
- Nuove indicazioni terapeutiche per: ruxolitinib, trastuzumab+pertuzumab, empagliflozin, emicizumab, tralokinumab.

Inoltre, a seguito di nuovi inserimenti/estensioni delle indicazioni, è stata effettuata l'introduzione/aggiornamento della:

- scheda di prescrizione cartacea AIFA dei farmaci per la psoriasi a placche;
- scheda di prescrizione cartacea AIFA dei JAKi nel trattamento dell'alopecia areata;
- scheda di prescrizione cartacea AIFA di tralokinumab nel trattamento della dermatite atopica.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.regione.sicilia.it/sites/default/files/2024-10/Aggiornamento%20del%20PTORS%20n.%2094.pdf>

### Approvazione del Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale per il trattamento dei pazienti affetti da cefalea nella Regione Siciliana

Con Decreto Assessoriale n. 1059 del 04/10/2024 è stato approvato Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA) per il trattamento dei pazienti affetti da cefalea nella Regione Siciliana.

Il PDTA ha lo scopo di garantire l'erogazione delle cure ai pazienti affetti da cefalea nella Regione Siciliana, nell'ambito dei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA), in condizioni di appropriatezza, efficacia, efficienza, equità, qualità e sicurezza. Inoltre, il documento prevede l'individuazione di specifici criteri e requisiti che devono essere rispettati dai centri deputati al trattamento dei pazienti con cefalea con lo scopo di costituire una rete regionale delle cefalee omogenea.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.regione.sicilia.it/sites/default/files/2024-10/D.A.%20n.1059%20del%204%20ottobre%202024.pdf>

<https://www.regione.sicilia.it/sites/default/files/2024-10/Allegato%20al%20D.A.%20n.1059%20del%204%20ottobre%202024.pdf>

O  
T  
T  
O  
B  
R  
E  
2  
0  
2  
4