

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...

- Rapporto OsMed 2024 sull'uso dei farmaci in Italia 3
- Modello fast-track per l'autorizzazione di studi clinici multinazionali nell'UE/SEE..... 3
- Bando AIFA 2025 per la ricerca indipendente sulla medicina di precisione e il contrasto all'antibiotico resistenza: presentati oltre 100 progetti 4
- Revisione delle Note AIFA: abrogate le Note 8, 92 e 101 4
- Aggiornamento degli elenchi dei farmaci innovativi e degli agenti antinfettivi 5
- Report AIFA aggiornato a maggio 2025 sui farmaci biosimilari in Italia 5
- Attivazione web ed aggiornamento Registri di monitoraggio Sarclisa® 6
- Attivazione web Registro di monitoraggio Beyonttra® 6

Focus Regione Sicilia

- Aggiornamento dell'elenco dei Centri di riferimento regionale per le malattie rare nella Regione siciliana 7
- Integrazione del D.A. n. 1439/2012 e s.m.i. di istituzione della "Rete Regionale per la Gestione Terapeutica delle Malattie Infiammatorie Croniche dell'Intestino (MICI)" – Inserimento del P.O. di Umberto I di Enna UOS di Gastroenterologia - in qualità di centro Spoke della Rete 7
- Aggiornamento dei Clinici abilitati alla prescrizione dei medicinali soggetti a nota AIFA 39 7

Newsletter mensile di Novità Regolatorie

<https://www.policlinicorodolicosanmarco.it/professionista/centro-di-farmacovigilanza/bollettini-novit-regolatorie-in-ambito-ospedaliero/>

<https://www.regione.sicilia.it/istituzioni/regione/strutture-regionali/assessorato-salute/dipartimento-pianificazione-strategica/bollettini-regolatori>

Direttore responsabile

Filippo Drago
Professore Ordinario di Farmacologia
Università di Catania

Redazione

Laura Longo
Responsabile Locale di Farmacovigilanza
Centro Regionale di Farmacovigilanza
AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco", Catania

Daniela C. Vitale
Responsabile del Centro Regionale di Farmacovigilanza
AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco", Catania

Rapporto OsMed 2024 sull'uso dei farmaci in Italia

Sul portale dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) è stato pubblicato il rapporto OsMed 2024. Il documento fornisce una descrizione analitica dell'uso dei farmaci nel contesto nazionale e regionale, mediante l'elaborazione di diversi flussi informativi che consentono di ricomporre l'assistenza farmaceutica in ambito territoriale e ospedaliero, sia a carico del Servizio Sanitario nazionale (SSN), che tramite l'acquisto privato da parte del cittadino.

Il Rapporto OsMed rileva un aumento della spesa farmaceutica complessiva (+2,8%), trainata dall'aumento della spesa pubblica (+7,7%) a fronte di un numero crescente di terapie innovative e ad alto costo rimborsate dal SSN. Nel 2024 la spesa farmaceutica totale è stata pari a 37,2 miliardi di euro (+2,8% rispetto al 2023), di cui il 72% rimborsato dal Servizio Sanitario Nazionale (SSN). La spesa farmaceutica pubblica si è attestata infatti sui 26,8 miliardi di euro, in crescita rispetto al 2023 (+7,7%). La spesa territoriale pubblica, comprensiva di quella convenzionata e in distribuzione diretta e per conto, è stata di 13 miliardi e 700 milioni, con un aumento del 5,1% rispetto all'anno precedente, determinato, anche quest'anno, dall'incremento della spesa dei farmaci di classe A erogati in distribuzione diretta (+4,6%) e per conto (+10,9%). La spesa per i farmaci acquistati dalle strutture sanitarie pubbliche è stata di circa 17,8 miliardi di euro (301,8 euro pro capite) e ha registrato un incremento del 10% rispetto al 2023, a fronte di un aumento dei consumi (+4,7%) e del costo medio per giornate di terapia (+4,8%). La spesa a carico dei cittadini, comprendente la spesa per compartecipazione (ticket regionali e differenza tra il prezzo del medicinale a brevetto scaduto erogato al paziente e il prezzo di riferimento), per i medicinali di classe A acquistati privatamente e quella per i farmaci di classe C, ha raggiunto un valore di 10,2 miliardi di euro nel 2024.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/rapporto-osmed-2024-uso-farmaci-italia> <https://www.aifa.gov.it/-/l-uso-dei-farmaci-in-italia-rapporto-osmed-2024>

Modello fast-track per l'autorizzazione di studi clinici multinazionali nell'UE/SEE

Le Autorità Nazionali Competenti (NCA) e i Comitati Etici stanno valutando un approccio coordinato e accelerato per la valutazione degli studi clinici multinazionali; tale approccio definito FAST (*Facilitating and Accelerating Strategic Clinical Trials*), prevede tempistiche chiare e competitive e meccanismi di coordinamento specifici, allo scopo di fornire agli sponsor maggiore prevedibilità nelle tempistiche di valutazione e autorizzazione, facilitare l'attrazione di investimenti di ricerca, mantenendo standard scientifici, di sicurezza ed etici. L'avvio dell'iniziativa è previsto per gennaio 2026.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.hma.eu/about-hma/recently-published.html#c7838%C2%A0>

Bando AIFA 2025 per la ricerca indipendente sulla medicina di precisione e il contrasto all'antibiotico resistenza: presentati oltre 100 progetti

Sono oltre 100 i progetti presentati nell'ambito della ricerca indipendente 2025 per un finanziamento complessivo di 20 milioni di euro. Nello specifico 32 proposte di studio riguardano l'antibiotico resistenza e 75 la medicina di precisione. I progetti provengono principalmente da aziende ospedaliere, sanitarie e policlinici universitari (44), Università (27) e IRCCS (26). Per entrambe le aree, l'obiettivo è promuovere un uso appropriato ed efficace dei farmaci e contrastare il fenomeno delle resistenze, razionalizzare le prescrizioni, migliorare la qualità della vita dei pazienti e garantire la sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale. Il maggior numero degli studi presentati sulla medicina di precisione si concentra su strumenti e strategie per migliorare le prescrizioni, oncologia e neurologia di precisione, terapie personalizzate, *digital health* e intelligenza artificiale. Le proposte di studio saranno sottoposte ad una fase di validazione da parte dell'Ufficio di Ricerca Indipendente dell'AIFA, per verificare la conformità ai requisiti del Bando. Verrà poi istituita una Commissione che valuterà i progetti candidati.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/2694929/Comunicato_AIFA_55-2025.pdf

Revisione delle Note AIFA: abrogate le Note 8, 92 e 101

Nell'ambito dell'attività di revisione delle Note AIFA, l'Agenzia informa che dal 3 ottobre 2025 è stata abrogata la Nota 92 e dal 18 novembre 2025 sono state abrogate le Note 8 e 101. I medicinali a base di levocarnitina, precedentemente assoggettati alla Nota 8, sono riclassificati in classe A/PHT/RR con rimborsabilità limitata alla carenza primaria di carnitina evidenziata mediante dosaggio plasmatico (valori inferiori a 2 mmol/L) o mediante biopsia muscolare (concentrazioni tissutali minori 10-20% rispetto ai valori normali) e alla carenza di carnitina secondaria a trattamento dialitico.

I medicinali a base di benzilpenicillina benzatinica, precedentemente assoggettati alla Nota 92, sono riclassificati in classe A/PHT/RR, senza limitazioni rispetto alle indicazioni autorizzate.

La Nota 101 è stata abrogata dal 18 novembre 2025.

Per tutti i provvedimenti di abrogazione delle Note AIFA, l'Agenzia effettuerà un monitoraggio della spesa e dei consumi dei medicinali interessati, a 6 e a 12 mesi dall'entrata in vigore delle nuove disposizioni.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.gazzettaufficiale.it/eli/id/2023/09/21/23A05259/sq>

Aggiornamento degli elenchi dei farmaci innovativi e degli agenti antinfettivi

AIFA ha aggiornato l'elenco dei medicinali che, a giudizio della Commissione Scientifico Economica, possiedono il requisito di innovatività terapeutica. L'aggiornamento include i seguenti farmaci:

- Casgevy® (exagamglogene autotemcel) indicato per il trattamento della β talassemia trasfusione dipendente (transfusion dependent β thalassemia, TDT) in pazienti di età pari o superiore a 12 anni e fino a 35 anni per i quali è appropriato il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (haematopoietic stem cell, HSC) e non è disponibile un donatore consanguineo di HSC con antigene leucocitario umano (human leukocyte antigen, HLA) compatibile.
- Evkeeza® (evinacumab) indicato in aggiunta alla dieta e ad altre terapie volte a ridurre il colesterolo lipoproteico a bassa densità (LDL-C) per il trattamento di pazienti pediatrici di età pari o superiore a 6 mesi e inferiore a 12 anni con ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH).
- Voxzogo® (vosoritide) indicato per il trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età compresa tra i 4 mesi e i 14 anni al momento dell'inizio della terapia e le cui epifisi non siano chiuse.

AIFA, inoltre, ha aggiornato l'elenco degli agenti antinfettivi per infezioni da germi multiresistenti classificati come “reserve”, nonché attivi nei confronti almeno di un patogeno considerato prioritario dall'elenco “Bacterial Priority Pathogens List” dell'Organizzazione Mondiale della Sanità.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/farmaci-innovativi>

Report AIFA aggiornato a maggio 2025 sui farmaci biosimilari in Italia

AIFA ha pubblicato i report sul monitoraggio dei farmaci biosimilari in Italia, aggiornato a maggio 2025. Oltre ai trend di consumo, spesa e variabilità regionale, sono presenti anche approfondimenti sull'evoluzione dei prezzi nei diversi canali erogativi (convenzionata, distribuzione per conto, distribuzione diretta) e sull'andamento dei consumi delle formulazioni endovenose e sottocutanee.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/monitoraggio-consumi-e-spesa-biosimilari>

Attivazione web ed aggiornamento Registri di monitoraggio Sarclisa®

A seguito dell'entrata in vigore della Determina AIFA n. PRES/1487/2025 (come da avviso in G.U. n. 258 del 06 novembre 2025), a partire dal 07/11/2025 è possibile utilizzare il medicinale Sarclisa® (isatuximab) mediante registro di monitoraggio per l'indicazione ammessa alla rimborsabilità:

- *in associazione a bortezomib, lenalidomide e desametasone, per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi non eleggibili al trapianto autologo di cellule staminali.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-ed-aggiornamento-registri-di-monitoraggio-sarclisa-mm1l>

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_Pres-1487-2025_SARCLISA.pdf

Attivazione web Registro di monitoraggio Beyonttra®

A seguito dell'entrata in vigore della Determina AIFA n. PRES/1540/2025 (come da avviso in G.U. n. 271 del 21 novembre 2025), a partire dal 22/11/2025 è possibile utilizzare il medicinale Beyonttra® (acoramidis) mediante registro di monitoraggio per l'indicazione ammessa alla rimborsabilità:

- *trattamento dell'amiloidosi da transtiretina wild type o variante in pazienti adulti con cardiomiopatia (ATTR-CM).*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-ed-aggiornamento-registri-di-monitoraggio-sarclisa-mm1l>

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_Pres-1487-2025_SARCLISA.pdf

Focus Regione Sicilia

Aggiornamento dell'elenco dei Centri di riferimento regionale per le malattie rare nella Regione siciliana

Con D.A. n. 1252 del 12 novembre 2025 è stato aggiornato l'elenco dei Centri di riferimento regionale per le malattie rare nella Regione Siciliana. La Rete Regionale delle Malattie Rare opererà secondo un modello integrato mediante procedure di collaborazione tra i Centri di riferimento (HUB), Centri facenti parte delle Reti di Riferimento Europei (ERN) e altre strutture specialistiche che collaborano alla diagnosi e al trattamento degli aspetti clinici di pertinenza (SPOKE).

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.gurs.regione.sicilia.it/Gazzette/g25-50/g25-50.pdf>

Integrazione del D.A. n. 1439/2012 e s.m.i. di istituzione della "Rete Regionale per la Gestione Terapeutica delle Malattie Infiammatorie Croniche dell'Intestino (MICI)" – Inserimento del P.O. di Umberto I di Enna UOS di Gastroenterologia - in qualità di centro Spoke della Rete

Con D.A. n. 1261 del 14 novembre 2025 è stato aggiornato l'elenco dei Centri della Rete MICI, con l'inserimento dell'UOS di Gastroenterologia del P.O. "Umberto I" di Enna, in qualità di centro SPOKE.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<http://www.gurs.regione.sicilia.it/Gazzette/g25-51/g25-51.pdf>

Aggiornamento dei Clinici abilitati alla prescrizione dei medicinali soggetti a nota AIFA 39

Con D.D.G. n. 1267/2025 è stato aggiornato l'elenco dei Clinici abilitati alla prescrizione dei medicinali a base di ormone somatotropo e analoghi, soggetti a nota AIFA 39.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.regione.sicilia.it/sites/default/files/2025-11/D.D.G.%20n.%201267%20del%2017.11.2025.pdf>