

# AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

**DETERMINA 5 giugno 2017**

Classificazione del medicinale per uso umano «Orkambi», ai sensi dell'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537. (Determina n. 1041/2017). (17A04016)

**(GU n.143 del 22-6-2017)**

IL DIRETTORE GENERALE

Visti gli articoli 8 e 9 del decreto legislativo 30 luglio 1999, n. 300;

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;

Visto il decreto 20 settembre 2004, n. 245, del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze: «Regolamento recante norme sull'organizzazione ed il funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco, a norma dell'art. 48, comma 13, del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326», così come modificato dal decreto 29 marzo 2012, n. 53, del Ministro della salute, di concerto con i Ministri per la pubblica amministrazione e la semplificazione e dell'economia e delle finanze: «Modifica al regolamento e funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco (AIFA), in attuazione dell'art. 17, comma 10, del decreto-legge 6 luglio 2011, n. 98, convertito, con modificazioni, dalla legge 15 luglio 2011, n. 111»;

Visti il regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell'ordinamento del personale e la nuova dotazione organica, definitivamente adottati dal Consiglio di amministrazione dell'AIFA, rispettivamente, con deliberazione 8 aprile 2016, n. 12, e con deliberazione 3 febbraio 2016, n. 6, approvate ai sensi dell'art. 22 del decreto 20 settembre 2004, n. 245, del Ministro della salute di concerto con il Ministro della funzione pubblica e il Ministro dell'economia e delle finanze, della cui pubblicazione sul proprio sito istituzionale e' stato dato avviso nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 140 del 17 giugno 2016;

Visto il decreto legislativo 30 marzo 2001, n. 165, recante «Norme generali sull'ordinamento del lavoro alle dipendenze delle amministrazioni pubbliche» e successive modificazioni e integrazioni;

Vista la legge 15 luglio 2002, n. 145, recante «Disposizioni per il riordino della dirigenza statale e per favorire lo scambio di esperienze e l'interazione tra pubblico e privato»;

Visto il decreto del Ministro della salute del 17 novembre 2016, vistato ai sensi dell'art. 5, comma 2, del decreto legislativo n. 123/2011 dall'Ufficio centrale del bilancio presso il Ministero della salute in data 18 novembre 2016, al n. 1347, con cui e' stato nominato Direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco il prof. Mario Melazzini;

Visto il decreto del Ministro della salute del 31 gennaio 2017, vistato ai sensi dell'art. 5, comma 2, del decreto legislativo n. 123/2011 dall'Ufficio centrale del bilancio presso il Ministero della salute in data 6 febbraio 2017, al n. 141, con cui il prof. Mario Melazzini e' stato confermato Direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'art. 2, comma 160, del decreto-legge 3 ottobre 2006, n. 262, convertito, con modificazioni,

dalla legge 24 novembre 2006, n. 286;

Vista la legge 24 dicembre 1993, n. 537, concernente «Interventi correttivi di finanza pubblica» con particolare riferimento all'art. 8;

Visto l'art. 1, comma 40, della legge 23 dicembre 1996, n. 662, recante «Misure di razionalizzazione della finanza pubblica», che individua i margini della distribuzione per aziende farmaceutiche, grossisti e farmacisti;

Visto l'art. 48, comma 33, legge 24 novembre 2003, n. 326, che dispone la negoziazione del prezzo per i prodotti rimborsati dal Servizio sanitario nazionale tra Agenzia e titolari di autorizzazioni;

Visto il decreto legislativo 24 aprile 2006, n. 219, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana n. 142 del 21 giugno 2006, concernente l'attuazione della direttiva 2001/83/CE (e successive direttive di modifica) relativa ad un codice comunitario concernenti i medicinali per uso umano nonche' della direttiva 2003/94/CE;

Vista la delibera CIPE del 1° febbraio 2001;

Vista la determinazione 29 ottobre 2004 «Note AIFA 2004 (Revisione delle note CUF)», pubblicata nel supplemento ordinario alla Gazzetta Ufficiale n. 259 del 4 novembre 2004 e successive modificazioni;

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

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

Visto il regolamento n. 726/2004/CE;

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 specialita' medicinali soggette a rimborsabilita' condizionata nell'ambito dei registri di monitoraggio AIFA;

Vista la determinazione n. 345/2016 del 10 marzo 2016, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana n. 70 del 24 marzo 2016, relativa alla classificazione del medicinale ai sensi dell'art. 12, comma 5, legge 8 novembre 2012, n. 189, di medicinali per uso umano approvati con procedura centralizzata;

Vista la domanda con la quale la societa' Vertex Pharmaceuticals (Europe) Limited ha chiesto la classificazione delle confezioni con A.I.C. n. 044560011/E;

Visto il parere della Commissione consultiva tecnico-scientifica nella seduta del 12 settembre 2016;

Visto il parere del Comitato prezzi e rimborso nella seduta del 28 marzo 2017;

Vista la deliberazione n. 9 in data 20 aprile 2017 del consiglio di amministrazione dell'AIFA adottata su proposta del direttore generale;

Determina:

Art. 1

Classificazione ai fini della rimborsabilita'

Indicazioni terapeutiche oggetto della negoziazione:

ORKAMBI e' indicato per il trattamento della fibrosi cistica

(FC), in pazienti di eta' pari o superiore a 12 anni omozigoti per la mutazione F508 del nel gene CFTR.

Il medicinale «Orkambi» nelle confezioni sotto indicate e' classificato come segue.

Confezione:

200 mg/125 mg - compressa rivestita con film - uso orale - blister (ACLAR/PVC/alluminio) - 112 (4x28) compresse (confezione multipla);

A.I.C. n. 044560011/E (in base 10) 1BHVNC (in base 32);

Classe di rimborsabilita': «A»;

Prezzo ex factory (IVA esclusa): € 12.994,00;

Prezzo al pubblico (IVA inclusa): € 21.445,30.

Ai fini delle prescrizioni a carico del Servizio sanitario nazionale, i centri utilizzatori specificatamente individuati dalle regioni, dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili e la scheda di follow-up, applicando le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito dell'Agenzia, piattaforma web - all'indirizzo <https://www.agenziafarmaco.gov.it/registri/> che costituiscono parte integrante della presente determinazione.

Nelle more della piena attuazione del registro di monitoraggio web-based, onde garantire la disponibilita' del trattamento ai pazienti le prescrizioni dovranno essere effettuate in accordo ai criteri di eleggibilita' e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'Agenzia:

<http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/registri-farmaci-sottoposti-monitoraggio>

I dati inerenti ai trattamenti effettuati a partire dalla data di entrata in vigore della presente determinazione, tramite la modalita' temporanea suindicata, dovranno essere successivamente riportati nella piattaforma web, secondo le modalita' che saranno indicate nel sito:

<http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/registri-farmaci-sottoposti-monitoraggio>

Sconto obbligatorio alle strutture pubbliche del Servizio sanitario nazionale (ivi comprese le strutture di natura privato-convenzionata con il Servizio sanitario nazionale) sul prezzo ex factory netto, come da condizioni negoziali.

Ulteriore sconto da applicare sul prezzo netto di vendita, ogni 12 mesi, tramite procedura di payback alle regioni a fronte di provvedimento AIFA, come da condizioni negoziali. Il calcolo dello stesso verra' determinato sulla base dei consumi ed in base al fatturato (al netto degli eventuali pay-back del 5% e dei pay-back effettivamente versati) trasmessi attraverso il flusso della tracciabilita', di cui al decreto del Ministero della salute del 15 luglio 2004, per i canali ospedaliero e diretta e DpC, istituito ai sensi della legge n. 448/1998, successivamente modificata dal decreto ministeriale n. 245/2004.

Tetto di spesa complessivo sull'Ex Factory: € 33Mln/anno, calcolato di comune accordo sulla stima fornita dall'azienda dei pazienti eleggibili al trattamento con il farmaco «Orkambi». In caso di superamento della soglia ex factory di € 33 Mln/anno di fatturato, al netto di tutti gli sconti negoziati, pay-back e riduzioni transitorie di legge, nei 12 mesi, la ditta e' chiamata al ripiano dello sfondamento attraverso procedura di payback. Ai fini della determinazione dell'importo dell'eventuale sfondamento, il calcolo dello stesso verra' determinato sulla base dei consumi ed in base al fatturato (al netto degli eventuali payback del 5% e dei payback effettivamente versati, al momento della verifica dello sfondamento), trasmessi attraverso il flusso della tracciabilita', di cui al decreto del Ministro della salute del 15 luglio 2004, per i canali Ospedaliero e Diretta e DPC, ed il flusso OSMED, istituito ai sensi

della legge n. 448/1998, successivamente modificata dal decreto ministeriale n. 245/2004, per la Convenzionata. E' fatto, comunque, obbligo alla Parte di fornire semestralmente i dati di vendita relativi ai prodotti soggetti al vincolo del tetto e il relativo trend dei consumi nel periodo di vigenza dell'accordo, 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 Servizio sanitario nazionale) dovra' essere rinegoziato in riduzione rispetto ai precedenti valori. I tetti di spesa, ovvero le soglie di fatturato eventualmente fissati, si riferiscono a tutti gli importi comunque a carico del Servizio sanitario nazionale, ivi compresi, ad esempio, quelli derivanti dall'applicazione della legge n. 648/1996 e dall'estensione delle indicazioni conseguenti a modifiche.

L'azienda rinuncia formalmente al contenzioso gia' avviato e pendente dinanzi al TAR del Lazio, RG 9/2/2017-74060 A, proposto per l'annullamento del provvedimento AIFA del 6 dicembre 2016, protocollo n. 123452 nella parte in cui la Commissione consultiva tecnico-scientifica dell'AIFA «non ha riconosciuto l'innovativita' terapeutica del farmaco», nonche' ad ogni eventuale pretesa risarcitoria connessa alla pratica sopra definita.

Validita' del contratto: 12 mesi.

Le condizioni negoziali sopra indicate relative alla specialita' medicinale in oggetto, hanno validita' di 12 mesi, decorrenti dalla data di pubblicazione della relativa determinazione di autorizzazione e classificazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana o dal diverso termine ivi stabilito. Le condizioni negoziali si rinnovano per ulteriori 12 mesi, qualora una delle parti non faccia pervenire all'altra almeno novanta giorni prima della scadenza naturale del presente contratto, una proposta di modifica delle condizioni, conformemente a quanto disposto dal punto 7 della deliberazione CIPE 1° febbraio 2001, n. 3. Qualora una delle parti, almeno novanta giorni prima della scadenza naturale del contratto, faccia pervenire all'altra una proposta di modifica delle condizioni negoziali gia' vigenti, l'AIFA apre il processo negoziale secondo le modalita' previste al punto 5 della deliberazione CIPE 1° febbraio 2001, n. 3, e fino alla conclusione del procedimento resta operativo l'accordo precedente. Il rinnovo tacito si applica a tutte le condizioni di cui all'accordo negoziale, ivi compresa quella relativa al tetto di spesa.

## Art. 2

### Condizioni e modalita' di impiego

Prescrizione del medicinale soggetta a quanto previsto dall'allegato 2 e successive modifiche, alla determinazione 29 ottobre 2004 - PHT Prontuario della distribuzione diretta, pubblicata nel supplemento ordinario alla Gazzetta Ufficiale n. 259 del 4 novembre 2004.

## Art. 3

### Classificazione ai fini della fornitura

La classificazione ai fini della fornitura del medicinale «Orkambi» e' la seguente: medicinali soggetti a prescrizione medica limitativa, vendibili al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di

specialisti (RRL): Centri di cura Fibrosi Cistica ed erogazione tramite i centri stessi o le farmacie convenzionate (distribuzione diretta e per conto).

Art. 4

#### Disposizioni finali

La presente determinazione ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana, e sarà notificata alla società titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Roma, 5 giugno 2017

Il direttore generale: Melazzini