

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

COMMISSIONE CONSULTIVA TECNICO SCIENTIFICA

DETERMINAZIONE 6 giugno 2006

Inserimento del medicinale "**idrossiurea**" nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale ai sensi dell'art. 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648, per il **trattamento di pazienti con beta talassemia non trasfusione-dipendente e con sindromi falcemiche che presentino una sintomatologia grave e/o invalidante e.**

LA COMMISSIONE CONSULTIVA TECNICO SCIENTIFICA

...Omissis

Denominazione: idrossiurea.

- (Onco-Carbide – Teofarma S.r.l.)

Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con beta talassemia non trasfusione-dipendente e con sindromi falcemiche che presentino una sintomatologia grave e/o invalidante.

Criteri di inclusione: pazienti con anemia marcata, eritropoiesi extramidollare, frequenti o gravi crisi dolorose falcemiche, ulcere recidivanti agli arti inferiori.

Criteri di esclusione: quelli già noti per l'idrossiurea; uso di farmaci neutropenizzanti.

Periodo di prescrizione a totale carico del Servizio sanitario nazionale: fino a nuova determinazione dell'Agenzia Italiana del Farmaco.

Piano terapeutico: dose iniziale di 1 capsula/die (=500 mg/die) pari a circa 8-10 mg/Kg/die, che può essere aumentata sino alla dose massima tollerata (definita in base alla tossicità ematologica) o fino a 30 mg/Kg/die, in base alla risposta clinica ed ematologica, dopo un periodo di 4-6 settimane. Talvolta è necessario associare una terapia con preparati a base di Zn per evitare una eccessiva secchezza cutanea per ipozinchemia. Una volta che venga raggiunta una stabile e soddisfacente risposta clinica ed ematologica, la terapia potrà essere interrotta (per guarigione delle ulcere o regressione dell'eritropoiesi extramidollare) oppure mantenuta al dosaggio minimo efficace, sino a che le condizioni del paziente lo richiedano.

Costo indicativo del trattamento: il farmaco è a carico del SSN in quanto distribuito in Italia in Classe A.

Altre condizioni da osservare: le modalità previste dagli articoli 4, 5, 6 del provvedimento CUF datato 20 luglio 2000 citato in premessa, in relazione a:

art. 4: istituzione del registro, rilevamento e trasmissione dei dati di monitoraggio clinico ed informazioni riguardo a sospensioni del trattamento (mediante apposita scheda come da Provvedimento 31 gennaio 2001, pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale n. 70 del 24 marzo 2001);

art. 5: acquisizione del consenso informato, modalità di prescrizione e di dispensazione del medicinale;

art. 6: rilevamento e trasmissione dei dati di spesa.

DATI DA INSERIRE NEL REGISTRO

	Prima del trattamento	1, 3, 6 e 12 mesi
leucociti	+	
piastrine	+	+
reticolociti	+	+
HbF	+	+
funzione epatica	+	+
funzione renale	+	+
zinchemia	+	+