

Allegato 1 - Criteri di accesso al Fondo AIFA 5% (D.L. n. 269/2003, convertito dalla legge n. 326/2003) successivamente integrato dalla Legge 10 novembre 2021 n. 175 sulla cura delle malattie rare e procedure operative

In considerazione della recente Legge 10 novembre 2021 n. 175 sulla cura delle malattie rare, dell'integrazione prevista al fondo 5% di una ulteriore quota pari al 2% delle spese sostenute annualmente dalle Aziende Farmaceutiche per le attività di promozione rivolte al personale sanitario e valutata la necessità di definire i criteri per favorire l'accesso in modo equo *“a farmaci orfani e per il trattamento di malattie rare e a farmaci che rappresentano una speranza di terapia, in attesa di commercializzazione, per particolari e gravi patologie”*, si forniscono le seguenti specifiche al fine di consentire un'interpretazione comune delle norme sopracitate.

CRITERI DI INCLUSIONE PER ACCESSO AL FONDO AIFA

- Medicinali per malattie rare e gravi richiesti per singoli casi su base nominale in condizione di urgenza
- Assenza di valida alternativa terapeutica in una condizione di bisogno terapeutico massimo o importante
- Medicinali/indicazioni per i quali siano disponibili dati di efficacia pubblicati relativi a studi di fase II o, nel caso di malattie rare evidenze di analoga rilevanza, e che rappresentano, a giudizio del richiedente, una opportunità di cura per il singolo paziente per cui viene effettuata la richiesta, valutata in base alle condizioni cliniche, lo stadio e la rapida progressione della malattia
- Diniego e/o impossibilità di inserire il paziente in un programma di uso compassionevole o di studio clinico.

CRITERI DI ESCLUSIONE PER ACCESSO AL FONDO AIFA

- Medicinali per malattie rare e gravi richiesti per uso ripetuto per una indicazione specifica.
- Medicinali/indicazioni disponibili attraverso altre modalità previste dall'impianto normativo:
 - Medicinali/indicazioni rimborsati dal SSN (A, H)
 - Medicinali inseriti nell'elenco della legge 648/96 per l'indicazione richiesta
 - Medicinali/indicazioni in classe C(nn) o C
 - Presenza di programmi di uso compassionevole nella medesima condizione clinica
 - Possibilità di inclusione in una sperimentazione clinica in corso con il farmaco per la medesima indicazione
- Medicinali disponibili in Italia per indicazioni diverse da quelle oggetto della richiesta e non in corso di valutazione EMA
- Medicinali diniegati dal CHMP per l'indicazione richiesta, o ritirati dal titolare a seguito di valutazione in corso negativa da parte del CHMP
- Medicinali/indicazioni con diniego da parte della CTS per l'inserimento nella lista della legge 648/96.

PROCEDURE OPERATIVE

I centri di documentata esperienza, verificata la rispondenza del caso ai criteri di inclusione ed esclusione previsti, possono indirizzare ad AIFA la richiesta di uso nominale singolo per l'accesso al Fondo 5%.

Nel caso in cui le richieste per uso singolo dovessero assumere il carattere di uso ripetitivo e sistematico, e in considerazione della fase di sviluppo clinico o di accesso al mercato in cui si trova il medicinale/indicazione, AIFA valuta tempestivamente la possibilità di:

- a) attivare un programma di uso terapeutico compassionevole da parte dell'azienda titolare del medicinale;
- b) avviare studi clinici anche valutando l'opportunità di un finanziamento mediante strumenti dedicati, quali l'incremento del 2% fondo AIFA introdotto dalla recente legge 10 novembre 2021 n. 175 sulla cura delle malattie rare;
- c) predisporre l'istruttoria per la valutazione da parte della CTS dell'inserimento nelle liste ai sensi della L. 648/96.

Nel caso di un farmaco già in commercio per cui provengano richieste che riguardano l'estensione di indicazioni non ancora negoziate e per le quali non è prevista la classificazione C(nn), AIFA - nelle more della chiusura dell'iter negoziale - si attiva per verificare la possibilità di un programma di uso compassionevole.

In caso di diniego:

- i) per singoli casi, AIFA valuterà l'eventuale accesso, in coerenza ai criteri di inclusione/esclusione attraverso il fondo 5%;
- ii) in caso di usi ripetuti, AIFA predisporrà l'istruttoria per la valutazione da parte della CTS dell'inserimento temporaneo nelle liste ai sensi della L. 648/96;

In caso di inserimento ai sensi della L. 648/96, questo percorso potrà diventare applicabile anche per i pazienti in continuità terapeutica e avviati inizialmente tramite il Fondo 5%.

Resta fermo il principio della garanzia della continuità terapeutica di tutti pazienti, anche di coloro già in trattamento alla data dell'applicazione dei nuovi criteri.