



Ufficio Carenze, Qualità dei prodotti e Contrasto al crimine farmaceutico

DETERMINAZIONE AIFA UCQP

AUTORIZZAZIONE ALL'IMPORTAZIONE DEL MEDICINALE

**“NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial” destinato al
mercato USA**

IL DIRIGENTE

Visti gli articoli 8 e 9 del D.Lgs. 30 luglio 1999, n. 300 e s.m.i.;

Visto l'art. 48 del D.L. 30 settembre 2003, n. 269, convertito nella Legge 24 novembre 2003, n. 326, con il quale è stata istituita l'Agenzia Italiana del Farmaco – di seguito “AIFA”;

Visto il D.Lgs. 30 marzo 2001, n. 165 e s.m.i.;

Visto il vigente regolamento di funzionamento e ordinamento del personale dell'Agenzia italiana del farmaco, adottato dal Consiglio di Amministrazione con deliberazione del 17 settembre 2025, n. 52, approvato, ai sensi dell'art. 22, commi 3 e 4, del decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245, dal Ministro della salute di concerto con il Ministro dell'economia e delle finanze e il Ministro per la pubblica amministrazione e pubblicato sul sito istituzionale dell'AIFA (comunicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 220 del 22 settembre 2025);

Visto il decreto del Ministro della salute 5 aprile 2024 con cui, a decorrere dalla data dello stesso, il prof. Robert Giovanni Nisticò è stato nominato Presidente del Consiglio di amministrazione dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'articolo 7 del citato decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245 e s.m.;

Vista la determinazione Dir.Tec.Sc. n. 92 del 24/12/2025, con la quale è stato conferito al Dott. Domenico Di Giorgio l'incarico di dirigente dell'Ufficio Carenze, Qualità dei prodotti e Contrasto al crimine farmaceutico dell'AIFA, con decorrenza dal 1° gennaio 2026;

Visto il R.D. 27 luglio 1934, n. 1265, recante *"Testo Unico delle leggi sanitarie"*;

Visto il D.M. 11 febbraio 1997, concernente le modalità di importazione di specialità registrate all'estero e s.m. i., fatto salvo dall'art. 158, comma 6, del D.L. vo 24 aprile 2006, n. 219 e s.m.i.;

Visto il D.M. 11 maggio 2001 riguardante la definizione di procedure da applicarsi in caso di temporanea carenza di specialità medicinali nel mercato nazionale;

Visto il D.Lgs. 24 aprile 2006, n. 219, pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana n. 142 del 21 giugno 2001, concernente l'attuazione della direttiva 2001/83/CE e successive modificazioni, relativa ad un codice comunitario concernente i medicinali per uso umano, nonché della direttiva 2003/94/CE;

Visto il D.M. 2 dicembre 2016, recante *"Disposizioni sull'importazione ed esportazione del sangue umano e dei suoi prodotti"* e s.m.i. (GU Serie Generale n.131 del 08-06-2018);

Vista la nota, in atti AIFA prot. n. 82235 del 23/06/2026, con la quale la SANOFI S.r.l. ha comunicato, in ottemperanza all'art. 2 del D.M. 11/05/2001, il possibile stato di carenza sul mercato nazionale del medicinale "NEXVIADYME (avalglucosidasi alfa) 100 mg - polvere per concentrato per soluzione per infusione - uso endovenoso - flaconcino (vetro) -1 flaconcino" AIC n. 050184011, e il successivo aggiornamento in atti AIFA prot. n. 104509 - 30/07/2026;

Accertato il rischio dello stato di carenza del predetto medicinale nel normale circuito distributivo a livello nazionale;

Vista l'istanza presentata dalla SANOFI S.r.l., in atti AIFA prot. n. 111224 del 25/08/2026, con la quale è stata richiesta all' UCPQ l'autorizzazione all'importazione del medicinale "NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial"" destinato al mercato USA, in confezionamento e lingua inglese, al fine di consentire l'approvvigionamento agli Assessorati alla Sanità;

Vista la rettifica, in atti AIFA prot. n. 111525 del 26/08/2026, all'istanza presentata dalla SANOFI S.r.l. con la quale è stata richiesta all' UCPQ l'autorizzazione all'importazione del medicinale "NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial" destinato al mercato USA, in confezionamento e lingua inglese, al fine di consentire l'approvvigionamento agli Assessorati alla Sanità;

Viste le integrazioni inviate dalla SANOFI S.r.l., in atti AIFA prot. n. 111440 del 26/08/2026 e prot. n. 111849 del 27/08/2026;

Acquisita la dichiarazione di identità attestante che il medicinale “NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial” destinato al mercato USA, in confezionamento e lingua inglese, è identico al medicinale autorizzato in Italia con n. A.I.C. 050184011 per **forma farmaceutica, dosaggio, composizione quali-quantitativa, contenuto della confezione e via di somministrazione;**

Preso atto che il medicinale “NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial” destinato al mercato USA presenta, rispetto al medicinale autorizzato in Italia con n. A.I.C. 050184011, **differenze relativamente alle indicazioni terapeutiche e alla popolazione eleggibile al trattamento, alla posologia e alle modalità di conservazione,** come riportato nella Nota Informativa che sarà distribuita a ciascuna struttura ricevente il medicinale;

Considerato che il medicinale destinato al mercato USA è autorizzato nel Paese di origine esclusivamente per il trattamento di pazienti **di età pari o superiore a 1 anno affetti da malattia di Pompe a esordio tardivo (Late-Onset Pompe Disease, LOPD)** e che, pertanto, il medicinale oggetto della presente importazione **non potrà essere utilizzato per il trattamento della malattia di Pompe a esordio infantile (Infantile-Onset Pompe Disease, IOPD), né in pazienti di età inferiore a 1 anno;**

Viste le precedenti determinazioni del 07/07/2026, e successiva rettifica del 09/07/2026, del 17/07/2026 e del 22/07/2026;

adotta la seguente

DETERMINAZIONE

la SANOFI S.r.l. è autorizzata a importare il medicinale destinato al mercato USA:

- **NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial”**

n. 3000 confezioni del Lotto n. GW2458 (scadenza 31.01.2030), in confezionamento e lingua inglese.

Prodotto da: Genzyme Corporation - 8 New York Avenue Framingham, MA 01701 USA - FEI Number: 1220423/DUNS Number: 117450412 (produzione sostanza attiva)

Genzyme Ireland Ltd - DA Industrial Park, Old Kilmeaden Road, Waterford X91 TP27, Ireland (produzione prodotto finito).

Rilasciato da: Genzyme Ireland Ltd - DA Industrial Park, Old Kilmeaden Road, Waterford X91 TP27, Ireland.

La SANOFI S.r.l. dovrà far pervenire almeno un foglietto illustrativo in lingua italiana e una copia della Nota informativa concordata con lo scrivente Ufficio a ciascuna struttura ricevente il farmaco.

Per le indicazioni, l'utilizzo e per le istruzioni per la ricostituzione e la somministrazione del medicinale i medici dovranno fare riferimento al foglietto illustrativo in lingua inglese fornito in ciascuna confezione e alla versione dello stesso in italiano che viene fornito da SANOFI S.r.l. ad ogni struttura.

Si precisa che il medicinale importato potrà essere utilizzato esclusivamente per le indicazioni terapeutiche autorizzate nel Paese di origine. Pertanto, NEXVIAZYME® in confezionamento statunitense potrà essere utilizzato esclusivamente al trattamento di pazienti di età pari o superiore a 1 anno affetti da malattia di Pompe a esordio tardivo (Late-Onset Pompe Disease, LOPD) e non potrà essere utilizzato per il trattamento della malattia di Pompe a esordio infantile (Infantile-Onset Pompe Disease, IOPD), né in pazienti di età inferiore a 1 anno.

Il medicinale del quale si autorizza l'importazione deve:

- essere preparato in conformità a quanto previsto dalla Farmacopea Europea, presso la sopra menzionata officina, regolarmente autorizzata alla produzione secondo le Norme di Buona Fabbricazione (GMP)
- essere fornito alle strutture sanitarie e ospedaliere richiedenti, senza apportare modifiche al prezzo di vendita applicato in Italia al medicinale "NEXVIADYME (avalglucosidasi alfa) 100 mg - polvere per concentrato per soluzione per infusione - uso endovenoso - flaconcino (vetro) - 1 flaconcino" (AIC n. 050184011) e mantenendo inalterate le eventuali condizioni negoziali
- essere distribuito nel rispetto delle Norme di Buona Distribuzione dei medicinali (GDP).

Il medicinale potrà essere depositato in Italia, unicamente presso il magazzino di seguito indicato:

- DHL Supply Chain S.p.A., Via delle Industrie, 2 – 20049 Settala (MI);
- DHL Supply Chain S.p.A., Via Ardeatina 2479 – 00134 Zona Industriale di Santa Palomba-tor del Vescovo (Roma).

L'autorizzazione alla distribuzione viene rilasciata a condizione che siano soddisfatti i requisiti di qualità, sicurezza ed efficacia analoghi a quelli dei medicinali registrati in Italia.

Ai sensi dell'art. 5 del D.M. 11 maggio 2001, agli Assessorati alla Sanità presso le Regioni e le Province Autonome è consentita, fino a diverse indicazioni al riguardo, "temporanea autorizzazione" ad acquistare, per il tramite delle Strutture Sanitarie e dei Servizi di Farmacia

Territoriale che ne necessitano, il medicinale “NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial” destinato al mercato USA in confezionamento e lingua inglese, importato dalla SANOFI S.r.l., allo scopo di assicurare la continuità dei programmi di trattamento a beneficio dei propri pazienti.

Ai fini del monitoraggio della distribuzione del medicinale:

- la SANOFI S.r.l. è tenuta a comunicare, allo scrivente ufficio: farmacicarenti@aifa.gov.it, la data in cui prodotto importato risulterà disponibile presso il proprio/i propri magazzini e pronto alla distribuzione;

- la SANOFI S.r.l. è tenuta a trasmettere ad AIFA, in formato Excel, i dati riepilogativi (numero di confezioni importate, numero di confezioni distribuite e loro destinazione, numero di confezioni residue, specificandone la destinazione qualora i termini dell'autorizzazione alla distribuzione delle stesse siano scaduti) delle confezioni del medicinale fornite al 30 giugno e al 31 dicembre, salvo nel caso in cui le confezioni importate si esauriscano prima di tali date, in tal caso, i dati riepilogativi dovranno essere trasmessi appena le scorte importate in base alla presente determinazione saranno esaurite.

La presente autorizzazione all'importazione ha validità di mesi SEI (6), rinnovabili, e potrà essere revocata in qualsiasi momento per motivazioni, circostanze e fattori diversi dagli attuali, che potrebbero determinarsi per variazioni dello stato di carenza o che potrebbero risultare in contrasto con gli interessi della collettività e la tutela della salute pubblica.

Roma **27/08/2026**

Il Dirigente

Domenico Di Giorgio
