DETERMINAZIONE 17 novembre 2026

Inserimento del medicinale Sirolimus (Rapamune) nell'elenco istituito, ai sensi della legge n. 648/1996, per il trattamento di pazienti con diagnosi di Sindrome Linfoproliferativa Autoimmune (ALPS) o di sindrome ALPS-like, di età ≥12 mesi e <40 anni, intolleranti o resistenti ai trattamenti di prima linea (in particolare, corticosteroidi e immunoglobulina umana endovenosa) o corticodipendenti.

LA COMMISSIONE CONSULTIVA TECNICO SCIENTIFICA

…Omissis

Denominazione: Sirolimus (Rapamune).

Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con diagnosi di Sindrome Linfoproliferativa Autoimmune (ALPS) o di sindrome ALPS-like, di età ≥12 mesi e <40 anni, intolleranti o resistenti ai trattamenti di prima linea (in particolare, corticosteroidi e immunoglobulina umana endovenosa) o corticodipendenti.

Criteri di inclusione

- Diagnosi di ALPS o di sindrome ALPS-like;
- età ≥12 mesi e <40 anni;
- pazienti intolleranti o resistenti ai trattamenti di prima linea, in particolare corticosteroidi e immunoglobulina umana endovenosa (IVIG) nei pazienti eleggibili, o corticodipendenti.

Criteri di esclusione

- Ipersensibilità a sirolimus o a uno qualsiasi degli eccipienti;
- infezioni non controllate;
- neoplasie maligne in trattamento o non in remissione;
- immunodeficienza grave combinata o infezione da HIV.

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

Piano terapeutico

Schema posologico

2 mg/m^2/die di sirolimus per os, con aggiustamenti basati sui livelli di sirolimus ematico (range 5-15 ng/ml).

Nei pazienti con risposta completa, sarà valutata una riduzione graduale del dosaggio.

Durata del trattamento

Durata media della terapia pari a 2 anni.

Altre condizioni da osservare: le modalità previste dagli articoli 4, 5, 6 del provvedimento 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 nella 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.

Parametri per il monitoraggio clinico

- Nel corso del trattamento i pazienti saranno valutati monitorando l'emocromo ogni 2 settimane fino al raggiungimento dei livelli target di sirolimus, poi ogni 3 mesi.
- Inoltre, può essere utile un monitoraggio dell'assetto lipidico, della funzione epatica e renale, per l'eventuale insorgenza di effetti avversi.