



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

Unità Coordinamento Segreterie Organismi Collegiali

● OdG Ufficio Ricerca e Sperimentazioni Cliniche CTS 13 e 14 luglio 2015

Argomenti presentati nel corso della riunione del Segretariato di Supporto e Coordinamento Ufficio Ricerca e Sperimentazione Clinica del giorno 26 maggio 2015

A) Sperimentazioni cliniche ed emendamenti sostanziali con ATIMP

1. Emendamento IMPD - versione 1.2 del 1 dicembre 2014 EudraCT 2012-001410-41 - Per informazione e presa d'atto.
2. EudraCT 2014-005123-27: Vaccinazione complementare con cellule dendritiche pulsate con lisato tumorale autologo in pazienti con melanoma stadio III e IV resecato: studio di fase II randomizzato (ACDC studio adiuvante)
3. EudraCT 2014-002834-30: Protocollo di accesso allargato di fase 3b, multicentrico, in aperto, a braccio singolo per talimogene laherparepvec per il trattamento, in Europa, di soggetti con melanoma non resecato di stadio da IIIB a IVM1c.

B) Richieste di accesso al Fondo Aifa del 5%

1. Richiesta di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale temocillina sodica (Negaban) per il trattamento di un paziente affetto da fibrosi cistica con infezione polmonare cronica da burkholderia cepacia totiresistente.

C) Legge 648/96: richieste di inserimento

1. Rinnovo dell'inserimento dell'associazione atazanavir/ritonavir (Reyataz 300 mg 1cp QD in associazione a Norvir 100 mg) per l'indicazione: *"utilizzo in monoterapia in pazienti in trattamento con atazanavir/ritonavir 300/100 mg qd in associazione con 2NRTIs, nadir CD4 > 100 cellule/mm³ con viremia <50 copie/ml da almeno 6 mesi e in assenza di precedenti fallimenti virologici, per ridurre la tossicità da NRTIs. Particolare cautela e attenta analisi delle opzioni alternative è raccomandata nei pazienti con replicazione virale da HCV e/o*

presenza di elevate viremie da HIV-1 (HIV-RNA > 100.000 copie/ml precedente l'inizio della terapia antiretrovirale".

2. Inserimento nell'elenco dei medicinali istituito ai sensi della Legge n. 648/96 di una nuova indicazione terapeutica per il farmaco cladribina (2-clorodeossadenosina) per uso sottocutaneo: trattamento dell'istiocitosi a cellule di Langerhans.
3. Inserimento del fattore VIII porcino ricombinante depleto del dominio B (Obizur) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per le seguenti indicazioni terapeutiche:
 - Emofilia A acquisita: trattamento degli episodi di sanguinamento non responsivi alla terapia con agenti bypassanti;
 - Emofilia A congenita con inibitore:
 - trattamento degli episodi di sanguinamento non responsivi alla terapia con agenti bypassanti;
 - trattamento delle complicanze emorragiche peri e post operatorie in corso di trattamento con agenti bypassanti
4. Modifica del periodo massimo di utilizzo della teriparatide (Paratormone - PTH) da 24 a 36 mesi nella terapia sostitutiva ormonale per la cura dell'ipoparatiroidismo cronico grave secondo quanto stabilito nell'Allegato 1 alla determinazione 27 maggio 2013 relativa all'inserimento del medicinale in oggetto nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96.
5. Inserimento del farmaco vinblastina solfato nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento di pazienti pediatrici affetti da glioma a basso grado associato o meno a neurofibromatosi di tipo 1 alla recidiva o refrattari dopo aver ricevuto almeno un precedente regime terapeutico e qualora non vi siano altre possibilità di trattamento prevedibilmente in grado di offrire una risposta duratura.
6. Uso di nuovi farmaci antivirali per il trattamento dell'infezione cronica da HCV in aggiunta a ribavirina o interferone in pazienti in terapia con epoetina alfa o beta secondo l'indicazione prevista nella lista farmaci ematologici (Allegato 3) relativa ad usi consolidati sulla base di evidenze scientifiche: Utilizzo nel trattamento dell'anemia (Hgb < 10 g/dL o riduzione dell'emoglobina > 2 g/dL durante un qualsiasi periodo di 4 settimane di trattamento) nei pazienti che ricevono ribavirina in combinazione con interferone standard o peghilato per il trattamento dell'infezione cronica da HCV e che presentano risposta virologica alla terapia.
7. Uso di nuovi farmaci antivirali per il trattamento dell'infezione da HCV in aggiunta alla terapia con filgrastim secondo l'indicazione prevista nella lista farmaci trapiantologia (Allegato 5) relativa ad usi consolidati sulla base di evidenze scientifiche: Neutropenia (neutrofili < 750/L) nei pazienti trapiantati di fegato o con diagnosi clinica di cirrosi, che ricevono interferone standard o peghilato in monoterapia o in combinazione con ribavirina e che presentano risposta virologica precoce alla terapia
8. Proroga per l'inserimento del medicinale afamelanotide (Scenesse) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento della protoporfiria eitropoietica
9. Rettifica parere CTS 20-23 aprile 2015 riguardo proposta di aggiornamento AIOM dei medicinali oncologici inseriti nell'elenco di cui alla Legge n. 648/96

10. Decorrenza relativa alle determinazioni di esclusione dei medicinali dall'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96
11. Rivalutazione del parere CTS del 19-21 gennaio 2015 relativo all'inserimento dei farmaci triptorelina e goserelina per la preservazione della funzione ovarica in corso di trattamento chemioterapico.

D) Varie ed eventuali

1. Proposta per uno studio osservazionale - Accordo negoziale 30.09.14 Specialità medicinale Fycompa (perampanel) compresse rivestite con film da 2,4,6,8,10,12 mg. Procedura centralizzata.

Argomenti presentati nel corso della riunione del Segretariato di Supporto e Coordinamento Ufficio Ricerca e Sperimentazione Clinica del giorno 26 giugno 2015

A) Sperimentazioni cliniche ed emendamenti sostanziali con ATIMP

4. Emendamento all'IMPD versione 1.3 del 5 maggio 2015 EudraCT 2012-000871-17
5. EudraCT 2014-004795-40: Vaccino MelCancerVac in pazienti con cancro colonrettale allo stadio IV senza evidenza di malattia dopo trattamento standard: studio adiuvante randomizzato di fase III
6. EudraCT 2014-001129-34: studio di fase 3 Studio di fase 3, in doppio cieco, randomizzato, controllato con placebo per valutare la sicurezza e l'efficacia di AMG0001 in soggetti affetti da ischemia critica degli arti

B) Richieste di accesso al Fondo Aifa del 5%

2. Richiesta di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale carfilzomib per il trattamento di un paziente affetto da mieloma multiplo recidivato/refrattario, pluritrattato.

C) Legge 648/96: richieste di inserimento

4. Inserimento del nivolumab nell'elenco istituito ai sensi della legge n. 648/96 per il trattamento di salvataggio del linfoma di Hodgkin dopo il fallimento di ASCT e brentuximab vedotin.
5. Inserimento del Cytotect biotest, a base di immunoglobuline umane a molecola integra, per la maggior parte IgG, ad alto titolo anticorpale contro il citomegalovirus, nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per la terapia dell'infezione fetale da citomegalovirus documentata su liquido amniotico in gravidanza, per la quale non esistono al momento valide alternative terapeutiche.

6. Inserimento del radiofarmaco ¹⁷⁷Lu-Dotatate (Lutathera) nell'elenco istituito ai sensi della legge n. 648/96 per il trattamento dei tumori neuroendocrini
7. Inserimento del micofenolato sodico enteric-coated (Myfortic) nell'elenco istituito ai sensi della legge n. 648/96 per la profilassi del rigetto dopo trapianto di polmone nell'adulto nei casi in cui il micofenolato di mofetile comporti effetti collaterali gastro-intestinali inaccettabili.
8. Inserimento del nell'elenco istituito ai sensi della legge n. 648/96 per il riociguat (Adempas) per le seguenti indicazioni:
 - trattamento dei pazienti affetti da ipertensione polmonare tromboembolica cronica (IPTEC) (gruppo 4 della classificazione dell'OMS) non operabile o residua/recidivante dopo intervento di endoarteriectomia polmonare (EAP);
 - in combinazione con bosentan, per il trattamento dei pazienti affetti da ipertensione polmonare tromboembolica cronica (IPTEC) (gruppo 4 della classificazione dell'OMS) non operabile o residua/recidivante dopo intervento di endoarteriectomia polmonare (EAP) a seguito di peggioramento clinico funzionale dopo 6 mesi di terapia con riociguat.
9. Rivalutazione del parere CTS del 23-25 marzo 2015 relativo alla richiesta di inserimento del farmaco Eliglustat(Cerdelga) per il trattamento a lungo termine di pazienti adulti con diagnosi confermata di malattia di Gaucher non neuropatica (Tipo 1) che risultino metabolizzatori intermedi (intermediate metabolizers, IMs) o rapidi (extensivemetabolizers, EMs) per il citocromo 2D6 (CYP2D6), nei quali i trattamenti specifici disponibili risultino controindicati, non tollerati o non somministrabili.