

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 8 aprile 2026

Modifica delle condizioni e modalita' di monitoraggio nell'ambito dei registri AIFA del medicinale per uso umano «Aspaveli». (Determina n. 25/2026). (26A01830)

(GU n.87 del 15-4-2026)

IL DIRETTORE TECNICO-SCIENTIFICO

Visto l'art. 48 del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, recante «Disposizioni urgenti per favorire lo sviluppo e per la correzione dell'andamento dei conti pubblici», convertito, con modificazioni, nella legge 24 novembre 2003, n. 326, che ha istituito l'Agenzia italiana del farmaco;

Visto il decreto 20 settembre 2004, n. 245 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze: «Regolamento recante norme sull'organizzazione ed il funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco, a norma dell'art. 48, comma 13, del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326», come da ultimo modificato dal decreto 8 gennaio 2024, n. 3 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale - Serie generale - n. 11 del 15 gennaio 2024;

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 Nistico' e' stato nominato Presidente del consiglio di amministrazione dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'art. 7 del citato decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245 e successive modificazioni ed integrazioni;

Visto il decreto del Ministro della salute 9 febbraio 2024 di nomina del dott. Pierluigi Russo quale direttore tecnico-scientifico dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'art. 10-bis del citato decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245;

Vista la legge 24 dicembre 1993, n. 537, concernente «Interventi correttivi di finanza pubblica», con particolare riferimento all'art. 8, comma 10, che prevede la classificazione dei medicinali erogabili a carico del Servizio sanitario nazionale (SSN);

Visto l'art. 15, comma 10, del decreto-legge 6 luglio 2012, n. 95, convertito con modificazioni dalla legge 7 agosto 2012, n. 135, recante «Disposizioni urgenti per la revisione della spesa pubblica con invarianza dei servizi ai cittadini», il quale dispone che «al fine di incrementare l'appropriatezza amministrativa e l'appropriatezza d'uso dei farmaci il Comitato ed il Tavolo di verifica degli adempimenti di cui agli articoli 9 e 12 dell'Intesa

Stato regioni del 23 marzo 2005 verificano annualmente che da parte delle regioni si sia provveduto a garantire l'attivazione ed il funzionamento dei registri dei farmaci sottoposti a registro e l'attivazione delle procedure per ottenere l'eventuale rimborso da parte delle aziende farmaceutiche interessate. I registri dei farmaci di cui al presente comma sono parte integrante del sistema informativo del Servizio sanitario nazionale»;

Visto l'art. 48, comma 33-ter del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269 summenzionato, convertito, con modificazioni, nella legge 24 novembre 2003, n. 326, in materia di specialita' medicinali soggette a rimborsabilita' condizionata nell'ambito dei registri di monitoraggio AIFA;

Visto il decreto legislativo 24 aprile 2006, n. 219, recante «Attuazione della direttiva 2001/83/CE (e successive direttive di modifica) relativa ad un codice comunitario concernente i medicinali per uso umano»;

Visto l'art. 11 della legge 7 agosto 1990, n. 241, recante «Nuove norme in materia di procedimento amministrativo e di diritto di accesso ai documenti amministrativi»;

Vista la deliberazione CIPE del 1° febbraio 2001, n. 3 come successivamente abrogata dal decreto del Ministro della salute 2 agosto 2019 di concerto con il Ministro dell'economia e delle finanze recante «Criteri e modalita' con cui l'Agenzia italiana del farmaco determina, mediante negoziazione, i prezzi dei farmaci rimborsati dal Servizio sanitario nazionale» pubblicato nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 185 del 24 luglio 2020;

Visto il provvedimento CUF del 31 gennaio 2001, concernente il monitoraggio clinico dei medicinali inseriti nel succitato elenco, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale del 24 marzo 2001, n. 70;

Visto il decreto del Ministro della salute 2 febbraio 2024 di costituzione della nuova Commissione scientifico-economica (CSE) dell'AIFA, ai sensi dell'art. 19 del decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245 e successive modificazioni ed integrazioni;

Visto il regolamento recante «Norme sull'organizzazione e il funzionamento della Commissione scientifico-economica del farmaco dell'Agenzia italiana del farmaco», approvato con deliberazione del consiglio di amministrazione dell'Agenzia italiana del farmaco il 17 Aprile 2024 e pubblicato sul sito istituzionale dell'AIFA;

Visto l'art. 1, comma 401, della legge 11 dicembre 2016, n. 232, che ha istituito il Fondo farmaci innovativi;

Visto l'art. 1, commi 281-292, della legge 30 dicembre 2024, n. 207, recante disposizioni in materia di riconoscimento dell'innovativita' terapeutica e dei requisiti per l'accesso al Fondo farmaci innovativi;

Vista la determina n. 532 del 26 luglio 2022, recante «Regime di rimborsabilita' e prezzo di vendita del medicinale "Aspaveli"», pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 189 del 13 agosto 2022, con la quale la specialita' medicinale «Aspaveli» e' stata sottoposta a monitoraggio per l'indicazione «trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno tre mesi»;

Visto il parere espresso dalla Commissione scientifico-economica del farmaco in occasione della seduta del 19, 20, 21, 22, 23 gennaio 2026, con il quale e' stata stabilita, nel Registro di monitoraggio della specialita' medicinale «Aspaveli» per l'indicazione «trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno tre mesi» la rimozione in scheda di eleggibilita' del campo bloccante relativo al valore dell'emoglobina, l'introduzione di una domanda bloccante relativa alla definizione di emolisi e la riformulazione della domanda sui precedenti trattamenti per EPN;

Preso atto del riscontro trasmesso da Swedish Orphan Biovitrum Srl, in data 9 febbraio 2026, a seguito della comunicazione, inviata in data 5 febbraio 2026, del parere espresso dalla Commissione scientifico-economica del farmaco (CSE), unitamente alla proposta di

aggiornamento grafico del registro di monitoraggio interessato, con il quale la medesima società ha manifestato la propria adesione al contenuto della scheda trasmessa, senza sollevare osservazioni;

Visto il parere espresso dalla Commissione scientifico-economica del farmaco in occasione della seduta del 16, 17, 18, 19 e 20 marzo 2026, con il quale è stata stabilita la modifica, nei registri di monitoraggio delle specialità medicinali per l'indicazione «trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno tre mesi», della domanda bloccante relativa alla definizione di emolisi;

Preso atto del riscontro trasmesso da Swedish Orphan Biovitrum Srl, in data 30 marzo 2026, a seguito della comunicazione, inviata in data 30 marzo 2026, del parere espresso dalla Commissione scientifico-economica del farmaco (CSE), unitamente alla proposta di aggiornamento grafico del registro di monitoraggio interessato, con il quale la medesima società ha manifestato la propria adesione al contenuto della scheda trasmessa, senza sollevare osservazioni;

Tenuto conto che l'eventuale aggravio sulla spesa farmaceutica a carico del SSN derivante dalla decisione della Commissione scientifico-economica sarà considerato nell'ambito della prossima procedura di rinegoziazione delle condizioni di prezzo e di rimborsabilità del medicinale, alla scadenza dell'accordo negoziale attualmente vigente;

Visti gli atti d'ufficio;

Determina:

Art. 1

Modifica del registro di monitoraggio

1. Si dispone la modifica del registro di monitoraggio ASPAVELI per l'indicazione «trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno tre mesi».

2. La modifica ha ad oggetto l'aggiornamento della scheda di monitoraggio, con particolare riguardo alla rimozione in scheda di eleggibilità del campo bloccante relativo al valore dell'emoglobina; alla introduzione della domanda «Emolisi clinicamente significativa riscontrata in corso di trattamento con C5i definita da: anemia con evidenze clinico-laboratoristiche di emolisi attribuibile all'EPN?»; alla sostituzione della domanda «Il paziente ha ricevuto altri trattamenti per EPN?» con le seguenti: «il paziente ha ricevuto precedenti trattamenti specifici con inibitori del C5?» e «il paziente ha ricevuto altri trattamenti specifici per EPN?».

3. Le modifiche delle condizioni e delle modalità d'impiego di cui alla presente determina sono disponibili nella documentazione aggiornata, consultabile sul portale istituzionale dell'AIFA: <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1>

Art. 2

Disposizioni finali

La presente determina ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana e sarà notificata alla società titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Roma, 8 aprile 2026

Il direttore tecnico-scientifico: Russo