

# AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 9 maggio 2023

Autorizzazione al rilascio on-line del registro per il monitoraggio del trattamento con il medicinale per uso umano «Upstaza», come da determina DG n. 120/2023 del 12 aprile 2023. (Determina DG n. 226/2023). (23A02813)

(GU n.112 del 15-5-2023)

## IL SOSTITUTO DEL DIRETTORE GENERALE

Visto l'art. 48 del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito con modificazioni dalla legge 24 novembre 2003, n. 326, che ha istituito l'Agenzia italiana del farmaco (di seguito denominata anche «Agenzia»);

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, concernente «Regolamento recante norme sull'organizzazione ed il funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco (AIFA), 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»;

Visto il decreto 29 marzo 2012, n. 53, del Ministero della salute, di concerto con i Ministri per la pubblica amministrazione e la semplificazione e dell'economia e delle finanze concernente «Modifica al regolamento e funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco, in attuazione dell'art. 17, comma 10, del decreto-legge 6 luglio 2011, n. 98, convertito, con modificazioni, dalla legge 15 luglio 2011, n. 111», pubblicato nella Gazzetta Ufficiale n. 106 dell'8 maggio 2012;

Visto il regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell'ordinamento del personale dell'AIFA, adottato dal consiglio di amministrazione con deliberazione 8 aprile 2016, n. 12 e reso pubblico con avviso nella Gazzetta Ufficiale 17 giugno 2016, n. 140;

Visto il decreto del Ministro della salute del 20 gennaio 2023, con il quale la dott.ssa Anna Rosa Marra, a decorrere dal 25 gennaio 2023, e' stata nominata sostituto del direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco, nelle more dell'attuazione delle disposizioni di cui all'art. 3 del decreto-legge n. 169 del 2022, convertito, con modificazioni, dalla legge n. 196 del 2022;

Visto l'art. 48, comma 18, del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269 succitato, il quale prevede che «le aziende farmaceutiche versano, su apposito Fondo istituito presso l'Agenzia, un contributo pari al 5 per cento delle spese autocertificate decurtate delle spese per il personale addetto»;

Visto l'art. 48, comma 19, lettera a), del medesimo decreto-legge, il quale stabilisce che «Le risorse confluite nel Fondo di cui al comma 18 sono destinate dall'Agenzia: per il 50 per cento, alla costituzione di un Fondo nazionale per l'impiego, a carico del Servizio sanitario nazionale, di farmaci orfani per malattie rare e di farmaci che rappresentano una speranza di cura, in attesa della commercializzazione, per particolari e gravi patologie»;

Visto l'art. 6, comma 3, lettera f), del sopra citato decreto ministeriale 20 settembre 2004, n. 245, come modificato dal decreto ministeriale n. 53 del 29 marzo 2012, ai sensi del quale il consiglio di amministrazione dell'AIFA provvede alla ripartizione del Fondo di cui all'art. 48, comma 19, della legge di riferimento, adottando le

opportune direttive per il suo utilizzo;

Vista la determina direttoriale n. 131 del 28 marzo 2022, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale n. 75 del 30 marzo 2022, recante «Revoca e decadenza dell'autorizzazione al rimborso dei trattamenti a valere sul Fondo 5%»;

Vista la delibera del consiglio di amministrazione n. 42 del 29 settembre 2022, con cui e' stata approvata la ripartizione del Fondo di cui all'art. 48, commi 18 e 19, del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269 succitato per l'anno 2022;

Vista la delibera del consiglio di amministrazione n. 13 del 26 aprile 2023, con cui e' stato approvato il bilancio consuntivo per l'anno 2022;

Vista la delibera del consiglio di amministrazione dell'AIFA n. 47 del 31 ottobre 2022, con la quale e' stato approvato il bilancio preventivo per l'anno 2023 (budget economico 2023);

Tenuto conto del parere assunto dalla CTS nella riunione dell'8, 9 e 10 marzo 2023 in ordine alla scheda del registro di monitoraggio del medicinale «Upstaza»;

Vista la delibera del consiglio di amministrazione n. 12 dell'11 aprile 2023, con cui e' stata approvata l'autorizzazione del finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale «Upstaza», a base di eladocagene exuparvovec, per l'importo pari a euro 3.500.000 (IVA esclusa), per il trattamento nominale del paziente di cui alla successiva determina DG n. 120/2023 del 12 aprile 2023, in cura presso l'UOD «Clinica dei disturbi neurologici e delle malattie genetiche rare» - IRCCS Fondazione Stella Maris Calambrone (Pisa) e il Dipartimento di neuroscienze e salute mentale - Azienda ospedaliero-universitaria «Policlinico Umberto I di Roma», affetto da deficit di decarbossilasi degli L-aminoacidi aromatici (AADC) confermata dal punto di vista clinico, molecolare e genetico e con fenotipo severo mediante accesso al Fondo di cui all'art. 48, commi 18 e 19, del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326;

Vista la determina DG n. 120/2023 del 12 aprile 2023 relativa all'autorizzazione al finanziamento del medicinale «Upstaza», per paziente affetto da deficit di decarbossilasi degli L-aminoacidi aromatici (AADC), confermato dal punto di vista clinico, molecolare e genetico e con fenotipo severo, ex art. 48, comma 19, lettera a) del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito con modificazioni dalla legge 24 novembre 2003, n. 326;

Considerato il parere della CTS del 13 aprile 2023 relativo all'approvazione della scheda di monitoraggio del medicinale «Upstaza»;

Vista la nota n. 52852 del 21 aprile 2023 con cui e' stata definita l'organizzazione delle attivita' di monitoraggio e di esecuzione della richiamata determina AIFA n. 120 del 2023;

Determina:

Art. 1

#### Istituzione del registro di monitoraggio

E' istituito un registro dedicato al monitoraggio dell'uso del medicinale UPSTAZA, a base di eladocagene exuparvovec, per il trattamento con il medicinale «Upstaza» di paziente affetto da deficit di decarbossilasi degli L-aminoacidi aromatici (AADC) confermato dal punto di vista clinico, molecolare e genetico e con fenotipo severo, autorizzato da AIFA con determina DG n. 120/2023 del 12 aprile 2023.

Art. 2

#### Condizioni e modalita' di impiego del registro «Upstaza»

1. La spesa del medicinale graverà sul Fondo nazionale per l'impiego, a carico del Servizio sanitario nazionale, di farmaci orfani per malattie rare e di farmaci che rappresentano una speranza di cura, in attesa della commercializzazione, per particolari e gravi

patologie (Fondo 5%), così come previsto dall'art. 48, comma 19, lettera a), legge di riferimento.

Ai fini della prescrizione e della dispensazione del suddetto medicinale, i medici e i farmacisti afferenti all'Azienda ospedaliero-universitaria «Policlinico Umberto I di Roma», specificatamente individuato dalla Regione Lazio, dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata disponibile a fronte dell'accesso attraverso il sito istituzionale dell'AIFA, all'indirizzo web <https://registri.aifa.gov.it/>

I medici e i farmacisti abilitati all'accesso al registro di monitoraggio AIFA dovranno effettuare la prescrizione e dispensazione del medicinale in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'AIFA: <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1>

In caso di temporaneo impedimento dell'accesso ai sistemi informativi, i medici ed i farmacisti abilitati dovranno garantire i trattamenti a partire dalla data di entrata in vigore della presente determina. Successivamente alla disponibilità delle funzionalità informatiche, i medici ed i farmacisti dovranno comunque inserire i dati dei trattamenti effettuati nella suddetta piattaforma web.

### Art. 3

#### Disposizioni finali

La presente determina ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana.

Roma, 9 maggio 2023

Il sostituto del direttore generale: Marra