

# AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

## DETERMINA 1 luglio 2021

Regime di rimborsabilita' e prezzo, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche, del medicinale per uso umano «Kalydeco». (Determina n. DG/786/2021). (21A04035)

(GU n.159 del 5-7-2021)

### IL DIRETTORE GENERALE

Visti gli articoli 8 e 9 del decreto legislativo 30 luglio 1999, n. 300;

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, con cui e' stato emanato il «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», cosi' come modificato dal decreto 29 marzo 2012, n. 53 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri per la pubblica amministrazione e la semplificazione e dell'economia e delle finanze, recante «Modifica al regolamento e funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco (AIFA), 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»;

Visti il regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell'ordinamento del personale e la nuova dotazione organica, definitivamente adottati dal consiglio di amministrazione dell'AIFA, rispettivamente con deliberazione 8 aprile 2016, n. 12 e con deliberazione 3 febbraio 2016, n. 6, approvate ai sensi dell'art. 22 del decreto 20 settembre 2004, n. 245 del Ministro della salute, di concerto con il Ministro della funzione pubblica e il ministro dell'economia e delle finanze, della cui pubblicazione nel proprio sito istituzionale e' stato dato avviso nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 140 del 17 giugno 2016;

Visto il decreto legislativo 30 marzo 2001, n. 165, recante «Norme generali sull'ordinamento del lavoro alle dipendenze delle amministrazioni pubbliche» e successive modificazioni ed integrazioni;

Vista la legge 15 luglio 2002, n. 145, intitolata «Disposizioni per il riordino della dirigenza statale e per favorire lo scambio di esperienze e l'interazione tra pubblico e privato»;

Visto il decreto del Ministro della salute del 15 gennaio 2020, con cui il dott. Nicola Magrini e' stato nominato direttore generale

dell'Agenzia italiana del farmaco ed il relativo contratto individuale di lavoro sottoscritto in data 2 marzo 2020 e con decorrenza in pari data;

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;

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

Visto l'art. 1, comma 400, della legge 11 dicembre 2016, n. 232, recante «Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2017 e bilancio pluriennale per il triennio 2017-2019»;

Visto il regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio del 16 dicembre 1999, concernente i medicinali orfani;

Visto l'art. 48, comma 33, della legge 24 novembre 2003, n. 326, che dispone la negoziazione del prezzo per i prodotti rimborsati dal Servizio sanitario nazionale tra Agenzia e titolari di autorizzazioni;

Visto l'art. 5 della legge 29 novembre 2007, n. 222, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana n. 279 del 30 novembre 2007 e rubricata «Interventi urgenti in materia economico-finanziaria, per lo sviluppo e l'equita' sociale»;

Visto il decreto legislativo 24 aprile 2006, n. 219, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana n. 142 del 21 giugno 2006, concernente l'attuazione della direttiva 2001/83/CE (e successive direttive di modifica) relativa ad un Codice comunitario concernente i medicinali per uso umano;

Vista la deliberazione CIPE del 1° febbraio 2001, n. 3;

Vista la determina AIFA del 3 luglio 2006, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 156 del 7 luglio 2006, concernente «Elenco dei medicinali di classe a) rimborsabili dal Servizio sanitario nazionale (SSN) ai sensi dell'art. 48, comma 5, lettera c), del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, nella legge 24 novembre 2003, n. 326 (Prontuario farmaceutico nazionale 2006)»;

Vista la determina AIFA del 27 settembre 2006 pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 227 del 29 settembre 2006 («Manovra per il governo della spesa farmaceutica convenzionata e non convenzionata»);

Visto il regolamento n. 726/2004/CE;

Visti gli articoli 11 e 12 del decreto-legge 13 settembre 2012, n. 158, recante «Disposizioni urgenti per promuovere lo sviluppo del Paese mediante un piu' alto livello di tutela della salute», convertito, con modificazioni, nella legge 8 novembre 2012, n. 189 e successive modificazioni ed integrazioni;

Vista la domanda con la quale la societa' Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited, titolare della A.I.C., in data 21 febbraio 2019 e 8 ottobre 2020 ha chiesto l'estensione delle indicazioni terapeutiche in regime di rimborso del medicinale KALYDECO (ivacaftor) relativamente alla confezione con codice A.I.C. n. 043519053/E;

Visto il parere espresso dalla Commissione consultiva tecnico-scientifica dell'AIFA nella sua seduta del 4-6 dicembre 2019;

Visto il parere della Commissione consultiva tecnico-scientifica rilasciato nella sua seduta del 11-15 e 22 gennaio 2021;

Visto il parere reso dal Comitato prezzi e rimborso dell'AIFA nella sua seduta del 19-21 e 27 maggio 2021;

Vista la delibera n. 43 del 24 giugno 2021 del consiglio di amministrazione dell'AIFA, adottata su proposta del direttore generale, concernente l'approvazione delle specialita' medicinali ai fini dell'autorizzazione all'immissione in commercio e rimborsabilita' da parte del Servizio sanitario nazionale;

Visti gli atti d'ufficio;

Determina:

Art. 1

Classificazione ai fini della rimborsabilita'

Le nuove indicazioni terapeutiche del medicinale KALYDECO (ivacaftor):

«Kalydeco» compresse e' indicato anche in un regime di associazione con tezacaftor 100 mg/ivacaftor 150 mg compresse per il trattamento di pazienti affetti da fibrosi cistica (FC) di eta' pari e superiore a dodici anni, omozigoti per la mutazione F508del o eterozigoti per la mutazione F508del e che presentano una delle seguenti mutazioni nel gene CFTR: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+ 3A → G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789 + 5G → A, 3272-26A → G, e 3849 + 10kbC → T».

«In un regime di associazione con ivacaftor 75 mg/tezacaftor 50 mg/elexacaftor 100 mg compresse per il trattamento di adulti e adolescenti di eta' pari e superiore a dodici anni affetti da fibrosi cistica (FC), omozigoti per la mutazione F508del nel gene CFTR o eterozigoti per la mutazione F508del nel gene CFTR con una mutazione a funzione minima (MF)».

sono rimborsate come segue.

Confezione: «150 mg - compressa rivestita con film - uso orale» blister (ACLAR/ALU); cartoncino - 28 compresse - A.I.C. n. 043519053/E (in base 10).

Classe di rimborsabilita': A.

Prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 9.000.

Prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 14.853,60.

Sconto obbligatorio sul prezzo ex factory, da praticarsi alle strutture sanitarie pubbliche, ivi comprese le strutture sanitarie private accreditate con il Servizio sanitario nazionale, come da condizioni negoziali.

Note di credito su prezzo ex factory da emettere nei confronti delle strutture acquirenti delle regioni, come da condizioni negoziali.

Attribuzione del requisito dell'innovazione terapeutica, in relazione all'indicazione terapeutica negoziata «In un regime di associazione con ivacaftor 75 mg/tezacaftor 50 mg/elexacaftor 100 mg compresse per il trattamento di adulti e adolescenti di eta' pari e superiore a dodici anni affetti da fibrosi cistica (FC), omozigoti per la mutazione F508del nel gene CFTR o eterozigoti per la mutazione F508del nel gene CFTR con una mutazione a funzione minima (MF)», da cui consegue:

l'inserimento nel Fondo per i farmaci innovativi;

rinuncia al beneficio della sospensione delle riduzioni di legge, di cui alle determine AIFA del 3 luglio 2006 e del 27 settembre 2006;

l'inserimento nei Prontuari terapeutici regionali nei termini previsti dalla normativa vigente (art. 10, comma 2, decreto-legge n. 158/2012, convertito, con modificazioni, nella legge n. 189/2012;

l'inserimento nell'elenco dei farmaci innovativi ai sensi dell'art. 1, commi 1 e 2, dell'accordo sottoscritto in data 18 novembre 2010 (rep. atti n. 197/CSR) e ai sensi dell'art. 1, commi 400-406, della legge 11 dicembre 2016, n. 232 (legge di Bilancio 2017).

Ai fini delle prescrizioni a carico del SSN, i centri utilizzatori specificatamente individuati dalle regioni, dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili e la scheda di follow-up, applicando le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito dell'Agenzia, piattaforma web - all'indirizzo <https://servizionline.aifa.gov.it> che costituiscono parte integrante della presente determina. Nelle more della piena attuazione del registro di monitoraggio web-based, onde garantire la disponibilita'

del trattamento ai pazienti, le prescrizioni dovranno essere effettuate in accordo ai criteri di eleggibilita' e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'Agenzia:  
<https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1>

I dati inerenti ai trattamenti effettuati a partire dalla data di entrata in vigore della presente determina, tramite la modalita' temporanea suindicata, dovranno essere successivamente riportati nella piattaforma web, secondo le modalita' che saranno indicate nel sito:

<https://www.aifa.gov.it/registri-farmaci-sottoposti-a-monitoraggio>

Tetto di spesa complessivo sull'ex factory: tetto complessivo per le specialita' «Orkambi», «Kalydeco», «Symkevi» e «Kaftrio», come da condizioni negoziali. Le parti concordano di non rinnovare automaticamente l'accordo, in deroga a quanto previsto dalla normativa vigente. Ai fini della determina dell'importo dell'eventuale sfondamento il calcolo dello stesso verra' determinato sui consumi e in base al fatturato (al netto di eventuale Payback del 5% e al netto del Payback dell'1,83% e dei payback effettivamente versati, al momento della verifica dello sfondamento, derivanti dall'applicazione dei MEAs previsti) trasmessi attraverso il flusso della tracciabilita' per i canali Ospedaliero e Diretta e DPC, ed il flusso OSMED per la Convenzionata. E' fatto, comunque, obbligo alle Aziende di fornire semestralmente i dati di vendita relativi ai prodotti soggetti al vincolo del tetto e il relativo trend dei consumi nel periodo considerato, segnalando, nel caso, eventuali sfondamenti anche prima della scadenza contrattuale. Ai fini del monitoraggio del tetto di spesa, il periodo di riferimento, per i prodotti gia' commercializzati avra' inizio dal mese della pubblicazione del provvedimento in Gazzetta Ufficiale, mentre, per i prodotti di nuova autorizzazione, dal mese di inizio dell'effettiva commercializzazione. In caso di richiesta di rinegoziazione del tetto di spesa che comporti un incremento dell'importo complessivo attribuito alla specialita' medicinale e/o molecola, il prezzo di rimborso della stessa (comprensivo dell'eventuale sconto obbligatorio al SSN) dovra' essere rinegoziato in riduzione rispetto ai precedenti valori.

Validita' del contratto: trentasei mesi.

## Art. 2

### Condizioni e modalita' di impiego

Prescrizione del medicinale soggetta a quanto previsto dall'allegato 2 e successive modifiche alla determina AIFA del 29 ottobre 2004 (PHT - Prontuario della distribuzione diretta), pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana n. 259 del 4 novembre 2004, Supplemento ordinario n. 162.

## Art. 3

### Classificazione ai fini della fornitura

La classificazione ai fini della fornitura del medicinale «Kalydeco» (ivacaftor) e' la seguente: medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti - centri di cura fibrosi cistica (RRL).

## Art. 4

### Disposizioni finali

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

sara' notificata alla societa' titolare dell'autorizzazione  
all'immissione in commercio.

Roma, 1° luglio 2021

Il direttore generale: Magrini