



REGIONE DEL VENETO

giunta regionale

DECRETO N. **143** DEL **21 OTT. 2024**

OGGETTO: Individuazione dei centri autorizzati alla prescrizione del farmaco omaveloxolone (Skyclarys - Registered), inserito nell'elenco istituito ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648 ed approvazione della relativa scheda di prescrizione.

NOTE PER LA TRASPARENZA:

Con il presente provvedimento, si individuano i Centri autorizzati alla prescrizione del farmaco omaveloxolone (Skyclarys - Registered), nuova entità terapeutica, di cui alla Determina AIFA 5 luglio 2024, n. 186 (G.U n. 160 del 10 luglio 2024), inserito, per l'indicazione trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni, nell'elenco istituito ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, nonché si approva la relativa scheda di prescrizione.

IL DIRETTORE GENERALE
DELL'AREA SANITÀ E SOCIALE

VISTA la Legge regionale 25 ottobre 2016, n. 19 “*Istituzione dell'ente di governance della sanità regionale veneta denominato "Azienda per il governo della sanità della Regione del Veneto - Azienda Zero". Disposizioni per la individuazione dei nuovi ambiti territoriali delle Aziende ULSS*” e s.m.i.;

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 614 del 14 maggio 2019 “*Approvazione delle schede di dotazione delle strutture ospedaliere e delle strutture sanitarie di cure intermedie delle Aziende Ulss, dell'Azienda Ospedale-Università di Padova, dell'Azienda Ospedale Universitaria Integrata di Verona, dell'Istituto Oncologico Veneto – IRCCS, della Società partecipata a capitale interamente pubblico “Ospedale Riabilitativo di Alta specializzazione” e degli erogatori ospedalieri privati accreditati. L.r. 48/2018 “Piano Socio Sanitario Regionale 2019-2023”. Deliberazione n. 22/CR del 13 marzo 2019*”;

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 1460 del 27 novembre 2023 “*Recepimento dell'Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano Rep. atti n. 121/CSR del 24 maggio 2023 sul "Piano nazionale per le malattie rare (PNMR)" e sul "Documento di riordino della rete malattie rare". Aggiornamento della rete dei Centri di riferimento per le malattie rare dell'area vasta e definizione della rete dei Centri di eccellenza e definizione dei compiti del Coordinamento regionale malattie rare*”;

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 1462 del 27 novembre 2023 “*Rete regionale delle Commissioni preposte alla valutazione dei farmaci: rinnovo e aggiornamento delle funzioni e della composizione della Commissione Tecnica Regionale Farmaci (CTRF) per il triennio 2023-2026. Aggiornamento delle funzioni delle Commissioni Terapeutiche Aziendali/Sovraziendali*” che attribuisce alla CTRF, tra gli altri, il compito di “*supportare l'Area Sanità e Sociale nell'individuazione dei centri autorizzati alla prescrizione di farmaci soggetti a Registro AIFA o Piano Terapeutico o nota AIFA e/o scheda prescrittiva; farmaci per i quali la normativa preveda una individuazione dei Centri da parte delle Regioni o farmaci per i quali si ritiene necessario governare l'appropriatezza prescrittiva e garantire l'expertise*”;

VISTO il Decreto del Direttore Generale Area Sanità e Sociale n. 9 del 8 febbraio 2023, “*Approvazione atto aziendale Azienda Zero*”, nella parte in cui, il suddetto atto aziendale, dispone che tra le funzioni che Azienda Zero - UOC Governo Clinico deve assicurare sono indicate “*analisi e gestione del Registro AIFA e dei Registri regionali; supporto all’informaticizzazione dei percorsi prescrittivi, formazione e informazione degli utilizzatori*”;

VISTA la Determina AIFA 5 luglio 2024, n. 186 “*Inserimento del medicinale «Skyclarys», a base di omaveloxolone, nell’elenco istituito, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, per il trattamento dell’atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni*”, in base alla quale tale farmaco, nuova entità terapeutica, indicato per il “*trattamento dell’atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni*” è classificato:

- ai fini della rimborsabilità, a carico del SSN, ai sensi della Legge 23 dicembre 1996, n. 648;
- ai fini della fornitura, come “*medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, utilizzabile esclusivamente in ambiente ospedaliero o in struttura ad esso assimilabile (OSP)*”;

DATO ATTO che alla predetta indicazione del farmaco omaveloxolone (Skyclarys - Registered), afferisce il Codice di esenzione malattia rara “*RFG040 - Malattie spinocerebellari*”, di cui alla sopra richiamata DGR n. 1460/2023;

PRESO ATTO dell’attività svolta dalla CTRF, ai sensi della DGR n. 1462/2023, a supporto delle scelte finalizzate all’adozione del presente provvedimento, ivi inclusa l’approvazione della scheda informativa del farmaco omaveloxolone (Skyclarys - Registered), sulla base dell’istruttoria svolta da Azienda Zero - UOC Governo Clinico, comprensiva del parere del Coordinamento Regionale per le Malattie Rare, come da verbale delle sedute del 10.09.2024 e 30.09.2024, agli atti della Direzione Farmaceutico- Protesica-Dispositivi medici;

ESAMINATA, inoltre, la scheda di prescrizione predisposta dal Coordinamento Malattie Rare e licenziata dalla CTRF nella seduta del 30.09.2024;

PRESO ATTO, altresì, che la sopra richiamata DGR n. 1462/2023 stabilisce che i pareri della CTRF siano inoltrati al Direttore Generale dell’Area Sanità e Sociale, ai fini dell’adozione dei relativi provvedimenti, per il controllo sulla coerenza, di detti pareri, con le attività di programmazione regionale, nonché per le ricadute economiche ed organizzative degli stessi;

RITENUTE le decisioni della CTRF coerenti con la programmazione regionale;

DECRETA

1. di approvare le premesse, quale parte integrante e sostanziale del presente provvedimento;
2. di individuare, ai fini della prescrizione del farmaco omaveloxolone (Skyclarys - Registered), nuova entità terapeutica, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, per l’indicazione terapeutica “*trattamento dell’atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni*” - di cui alla Determina AIFA n. 186/2024 - le seguenti Unità Operative, già Centri regionali di riferimento per le Malattie Rare, ai sensi della DGR n.1460/2023:

Azienda ULSS/Ospedaliera/IRCCS	UO autorizzata (sede)
Azienda Ospedale Università di Padova	UOC Neurologia
	UOC Pediatria
Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata di Verona	UOC Neurologia B

3. di approvare la scheda di prescrizione del farmaco omaveloxolone (Skyclarys - Registered), per l’indicazione terapeutica “*trattamento dell’atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni*”, di cui **Allegato A**, parte integrante e sostanziale del presente atto;

4. di incaricare il Coordinamento Malattie Rare della Regione del Veneto dell'informatizzazione della scheda di prescrizione di cui al punto 3., sull'apposito applicativo informatico, nonché dell'abilitazione, all'utilizzo dello stesso, dei Centri prescrittori di cui al punto 2.;
5. di precisare che la prescrizione del farmaco omaveloxolone (Skyclarys - Registered) da parte dei Centri di cui al punto 2., per l'indicazione oggetto del presente atto, associata al codice di esenzione malattia rara "RFG040 - Malattie spinocerebellari", è soggetta alla compilazione della scheda di prescrizione informatizzata di cui al punto 3., all'interno del sistema informatizzato del Registro per le Malattie Rare, istituito con Deliberazione della Giunta Regionale 10 marzo 2000, n. 741;
6. di incaricare la Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi Medici della comunicazione del presente provvedimento per il seguito di competenza, ad Azienda Zero, Aziende ULSS, Aziende Ospedaliere, IRCCS e alle Strutture private-accreditate della Regione del Veneto, nonché della pubblicazione della scheda informativa del farmaco omaveloxolone (Skyclarys - Registered) nel sito ufficiale della Regione del Veneto e della trasmissione, della medesima scheda, alle Commissioni Terapeutiche Aziendali e Sovraziendali (CTA/CTS);
7. di stabilire che Azienda Zero - UOC CRAV dovrà:
 - attivare idonea procedura affinché il farmaco omaveloxolone (Skyclarys - Registered) venga aggiudicato entro 60 giorni dalla pubblicazione del presente provvedimento nel Bollettino ufficiale della Regione; a tal fine i Centri prescrittori, di cui al punto 2., entro 15 giorni dalla medesima pubblicazione, dovranno trasmettere i propri fabbisogni alla UOC CRAV;
 - trasmettere alla Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi medici, nonché alle Aziende ULSS, Aziende Ospedaliere e IRCCS, il provvedimento di avvenuta aggiudicazione della procedura di cui sopra, entro 15 giorni dall'aggiudicazione stessa;
 - comunicare -qualora l'aggiudicazione non sia avvenuta entro 60 giorni dalla pubblicazione del presente provvedimento nel Bollettino ufficiale della Regione- la motivazione del mancato adempimento alla Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi medici, entro i 10 giorni successivi alla data di scadenza dei termini di cui sopra;
8. di autorizzare Aziende ULSS, Aziende Ospedaliere e IRCCS della Regione del Veneto ad acquistare il farmaco omaveloxolone (Skyclarys - Registered) - nelle more dell'espletamento della gara regionale- qualora se ne manifesti l'esigenza clinica e/o il farmaco risulti economicamente conveniente;
9. di dare atto che il presente provvedimento non comporta spesa a carico del bilancio regionale;
10. di pubblicare il presente provvedimento in forma integrale nel Bollettino ufficiale della Regione.



F.to Massimo Annicchiarico



REGIONE DEL VENETO

giunta regionale

143

Allegato A al Decreto n. del

21 OTT. 2024

pag. 1/2



SCHEDA DI PRESCRIZIONE FARMACO OMAVELOXOLONE (SKYCLARYS)

OMAVELOXOLONE SKYCLARYS DET.
AIFA N. 186/2024 L.648/96Indicazione terapeutica approvata e rimborsata SSN ai sensi della
Legge 648/96: trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e
negli adolescenti di età pari o superiore a 16 anni.

1. SCHEDA REGISTRAZIONE PAZIENTE

Dati del Centro prescrittore	I dati del Centro prescrittore (Centro di riferimento, U.O. e medico che prescrive) sono già censiti nel sistema informativo regionale delle malattie rare
Dati del paziente	I dati del paziente sono già registrati nel sistema informativo regionale delle malattie rare

Scheda a cura del Prescrittore

2. SCHEDA ELEGGIBILITÀ E DATI CLINICI AL BASALE

CRITERI DI INCLUSIONE

O	Età	≥ 16 anni	Blocco per età <16 anni, in base all'indicazione approvata dalla Legge 648/96
O	Diagnosi di atassia di Friedreich		Blocco per diagnosi diverse, in base all'indicazione approvata dalla Legge 648/96
O	Diagnosi confermata da test genetico		Attestare
	Formulata in data	.../.../...	
	Referto test genetico		
O	Scala Friedreich's Ataxia Rating Scale (mFARS)	 (score)	Blocco per score ≥ 80 per l'eleggibilità al trattamento, come stabilito dalla Legge 648/96

CRITERI DI ESCLUSIONE

O	Compromissione epatica severa (Child-Pugh classe C); Tasso di filtrazione glomerulare stimato (eGFR) < 30 ml/min; Scala New York Heart Association (NYHA) per lo scompenso cardiaco > III		Attestare
---	--	-------	-----------

O= parametro obbligatorio, secondo quanto previsto da Legge 648/96



3. MONITORAGGIO CLINICO

PARAMETRI	Prima dell'inizio del trattamento	A 3 mesi	A 6 mesi	All'anno
emocromo con formula, AST, ALT, bilirubina, colesterolo totale, LDL e HDL, eGFR, BNP (o NT/proBNP)	O			
AST, ALT, bilirubina		O <i>per i primi 3 mesi, ogni mese</i>		
AST, ALT, bilirubina, emocromo con formula, colesterolo totale, LDL, HDL, eGFR, BNP (o NT/proBNP)			O <i>ogni 6 mesi</i>	O
Scala Friedreich's Ataxia Rating Scale (mFARS)	O <i>richiesta per l'eleggibilità</i>	X	X	X
Eventi avversi da segnalare		SE SI, <i>indicare quale/i</i>	SE SI, <i>indicare quale/i</i>	SE SI, <i>indicare quale/i</i>

O= parametro obbligatorio, secondo quanto previsto da Legge 648/96

X= proposta di inserimento del parametro per il monitoraggio clinico