



18 marzo 2015

Lettera circolare AI n. 332

Medicamenti: Rapamycine (Rapamune® / sirolimus) e rimborso di medicinali che non figurano sulle liste ufficiali

Rapamycine

Negli ultimi mesi si è presentata con frequenza la questione del rimborso della crema a base di rapamicina (sirolimus, inibitore della mTOR) nel quadro del trattamento degli angiofibromi facciali sui pazienti che soffrono di sclerosi tuberosa (o sclerosi di Bourneville). Dopo un'analisi della situazione, l'UFAS è giunta alla conclusione che l'AI non deve rimborsarla.

Spiegazione: la sclerosi tuberosa di Bourneville è una malattia multisistemica con manifestazioni a livello cutaneo. L'affezione viscerale è caratterizzata dallo sviluppo di tumori al cervello, al cuore, ai reni nonché ai polmoni, le cui conseguenze possono essere molto gravi a seconda della loro ubicazione o del loro sviluppo. Il trattamento di questi tumori prevede o la resezione chirurgica oppure la somministrazione di medicinali come l'everolimus o il sirolimus (inibitore della mTOR). L'affezione cutanea comprende in particolare macchie ipopigmentate, angiofibromi facciali ecc. La prognosi della malattia dipende dall'affezione viscerale e neurologica, ma non dall'affezione cutanea.

Gli angiofibromi facciali possono essere trattati con il laser con buoni risultati. È stato osservato che il trattamento sistematico attraverso inibitori della mTOR (sirolimus) su alcuni pazienti affetti da tumori ai reni e al cervello ha prodotto effetti positivi anche sugli angiofibromi facciali. Alcuni studi hanno testato il farmaco su pazienti per i quali il trattamento sistematico non era indicato, utilizzando il sirolimus topico in unguento. Nella maggior parte dei casi fino a qui descritti, è stato possibile rilevare un miglioramento con una tolleranza generalmente buona. Non è ancora stato determinato quale sia la concentrazione ottimale del sirolimus, con quale frequenza vada somministrato né tantomeno quali siano i suoi effetti a lungo termine¹.

Conclusione: sebbene il sirolimus (rapamicina / Rapamune®) risulti efficace, rimane ancora poco chiaro quali possano essere i suoi effetti a lungo termine. Inoltre, come indicato sopra, non esiste consenso né sulla concentrazione ottimale né sulla frequenza di somministrazione. Diversi articoli scientifici riferiscono che sono ancora necessari studi di controllo placebo su larga scala al fine di valutarne la sicurezza e l'efficacia a lungo termine. In considerazione di quanto esposto e del fatto che questo medicinale non figura nell'Elenco delle specialità (ES), l'assicurazione invalidità non può assumere i costi del preparato.

Rimborso di medicinali che non figurano sulle liste ufficiali (ES, Elenco dei farmaci orfani)

Il numero marginale 1210 della Circolare sui provvedimenti sanitari d'integrazione dell'assicurazione invalidità (CPSI) è modificato con effetto immediato. Da subito, le domande concernenti il rimborso di preparati omologati in Svizzera ma che non figurano su una lista ufficiale devono essere sottoposte all'UFAS dopo esame del dossier da parte del SMR.

La Circolare sui provvedimenti sanitari d'integrazione dell'assicurazione invalidità (CPSI) sarà modificata in questo senso alla prossima occasione.

¹ Serra A. et al. *La sclérose tubéreuse de Bourneville: pathogénèse, clinique et nouvelles options thérapeutiques*. Forum Med Suisse 2013; 13(36), pagg. 696–702.