



9 settembre 2015

Lettera circolare AI n. 340

Rimborso del medicinale Kalydeco® (Ivacaftor) per il trattamento della mucoviscidosi

Questa lettera circolare concerne le direttive per gli uffici AI sul rimborso del medicamento Kalydeco® (Ivacaftor) nel quadro dei provvedimenti sanitari (art. 13 LAI).

Il medicamento Kalydeco® (Ivacaftor) figura nell'Elenco delle specialità (ES) dal 1° gennaio 2015. Indicato per il trattamento della mucoviscidosi nei pazienti dai sei anni in su, che presentano la mutazione G551D del gene CFTR, il medicamento è rimborsato dall'AI. A tale scopo è però necessario adempiere un certo numero di requisiti (v. allegato), figuranti nell'ES come limitazioni.

Per quanto concerne gli altri tipi di mutazione, Kalydeco® dispone di un'autorizzazione di Swissmedic per l'immissione sul mercato anche per il trattamento della mucoviscidosi nei pazienti dai sei anni in su che presentano le seguenti mutazioni del gene CFTR: G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R.

Il Kalydeco® non è però ammesso nell'ES per la cura di queste mutazioni e pertanto il rimborso non è obbligatorio e va verificato. A tale scopo è opportuno attenersi alle modalità previste all'articolo 71b dell'ordinanza sull'assicurazione malattie (OAMal), vale a dire che

l'AI assume i costi di un medicamento pronto per l'uso omologato dall'Istituto, non ammesso nell'ES, per un impiego che rientra o non rientra nell'informazione professionale se sono adempiute le condizioni di cui all'articolo 71a capoverso 1 lettera a o b:

- l'impiego del medicamento promette un elevato beneficio terapeutico contro una malattia che può avere esito letale per l'assicurato o provocare danni gravi e cronici alla sua salute e, a causa della mancanza di alternative terapeutiche, un altro trattamento omologato efficace non è disponibile;
- i costi del medicamento sono assunti soltanto previa consultazione del SMR;
- i costi assunti devono essere proporzionati al beneficio terapeutico del medicamento. L'ufficio AI determina l'importo del rimborso.

Per la cura delle altre mutazioni – G970R, F508del – Ivacaftor non ha alcuna autorizzazione e non è pertanto rimborsato.

Appendice, passo della lista delle specialità (LS), Limitatio

Kalydeco®

cpr riv 150 mg
(Ivacaftorum 150 mg)

Limitatio: KALYDECO è indicato nei pazienti a partire da 6 anni di età affetti da fibrosi cistica (FC, mucoviscidosi) con una mutazione G551D nel gene CFTR. Il trattamento con KALYDECO di tutti i pazienti affetti da FC deve essere condotto solo in centri per la FC. Di regola il decorso della terapia di tutti i pazienti affetti da FC trattati con KALYDECO va registrato in regola generale ogni 3 mesi nel registro europeo della FC (ECFSPR), comprendente anamnesi, qualità di vita, funzionalità polmonare, dosaggio di KALYDECO, compliance, interruzioni della terapia. In tutti i pazienti con FC deve essere condotta, prima dell'inizio della terapia, una determinazione del livello di cloruro nel sudore, nonché la misurazione del valore iniziale di FEV1(%) (= valore basale). Durante la terapia con KALYDECO va misurato il valore di FEV1(%) ogni tre mesi. Se non si raggiunge un aumento assoluto del FEV1(%) di almeno il 5 %, va condotto e documentato il test del sudore ogni 6 mesi. Tutti i ricoveri ospedalieri devono essere riportati nel registro (numero dei giorni di degenza ospedaliera). Nel registro devono essere indicati anche il numero e la durata di tutte le esacerbazioni polmonari. In caso di esacerbazione polmonare, la terapia antibiotica va registrata con indicazione dei dati seguenti: denominazione del principio attivo dell'antibiotico; durata della terapia antibiotica; somministrazione endovenosa vs. perorale vs. inalatoria; terapia con ricovero ospedaliero vs. terapia ambulatoriale.

I pazienti con FC devono essere informati sui seguenti criteri di interruzione al momento dell'inizio della terapia. La terapia con KALYDECO va rimborsata a condizione che vengano soddisfatti i criteri seguenti:

- a) il livello di cloruro nel sudore del paziente è inferiore a 60 mmol/l, oppure
- b) il livello di cloruro nel sudore del paziente diminuisce di almeno il 30 % (relativo) rispetto al valore basale, oppure
- c) il paziente mostra un miglioramento assoluto del FEV1(%) di almeno il 5 % rispetto al valore basale.

Qualora il livello basale di cloruro nel sudore sia già inferiore a 60 mmol/l in situazione basale, il paziente viene classificato come responder se:

- a) il livello di cloruro nel sudore del paziente diminuisce di almeno il 30 % (relativo) rispetto al valore basale, oppure
- b) il paziente mostra un miglioramento assoluto duraturo del FEV1(%) di almeno il 5 % rispetto al valore basale.