

## VERBALE DELL'INCONTRO OPEN-AIFA DEL 05.07.2018 CON INIZIO ORE 11.45 CON LA SOCIETÀ SANTHERA

### ELENCO PARTECIPANTI

#### AIFA

- Prof. Mario MELAZZINI - Direttore Generale
- Dott.ssa Linda Pierattini – Area Relazione Esterne Dott. Cristiano Niccolini – Area Pre-Autorizzazione
- Dott.ssa Alice De Corato – Area Pre-Autorizzazione
- Dott. Pietro Erba – STDG
- Dott.ssa Eleonora Agricola - STDG

#### Santhera

- Dott. Valeria Sansone - Direttore Clinico NEMO Milano
- Dott. Filippo Buccella - Responsabile Ricerca e Clinical Network Parent Project onlus
- Dott. Stefano Mazzariol - Vice Presidente Parent Project onlus
- Dott. Fernanda De Angelis - Responsabile Registro Parent Project onlus
- Dott. Silvano Berioli - Medical Affairs Director Santhera
- Dott. Alessandro Cirrincione - General Manager Italia Santhera
- Dott.ssa Edea Perata – Consulente affari istituzionali Santhera

Il meeting si tiene presso gli uffici dell'AIFA dalle 11.45 alle 12.15 del 5 luglio 2018.

Il meeting viene aperto dal Prof. Mario Melazzini che dà subito la parola all'Azienda.

Il dott. Cirrincione presenta i partecipanti e dà la parola alla dott.ssa Sansone, presente in qualità di esperta di distrofia muscolare di Duchenne (DMD) ed in rappresentanza dei clinici della rete dei Centri Nemo.

La dott.ssa Sansone riassume lo stato regolatorio di Raxone e ricorda brevemente le caratteristiche di efficacia e di sicurezza del farmaco, ringraziando AIFA per aver autorizzato le richieste ai sensi della legge n. 326/2003 (fondo AIFA del 5%) per il farmaco che sono state sottomesse fino ad oggi all'Agenzia e fa presente che altre quattro richieste verranno a breve inviate dal suo centro.

La dott.ssa Sansone rende noto che in 10 centri DMD italiani, dove lo studio SIDEROS è attivo, vi sono almeno una settantina di pazienti DMD in declino respiratorio che non assumono glucocorticoidi e che potrebbero beneficiare dell'uso di Raxone. Tuttavia, i centri che in Italia si occupano di pazienti affetti da DMD lamentano spesso la difficoltà ad ottenere la collaborazione delle amministrazioni ospedaliere e dei farmacisti ospedalieri necessarie a finalizzare le richieste ai sensi della legge n. 326/2003 in tempi brevi e che ciò sta causando un grave rallentamento del processo di sottomissione.

Per questo motivo i Clinici e Parent Project hanno chiesto la collaborazione di Santhera, immaginando che l'Azienda si potesse rendere disponibile per un programma di *Expanded Access*.

Il Direttore Generale, Prof. Melazzini, interviene precisando che esiste una chiara distinzione dal punto di vista regolatorio tra Uso Compassionevole ed accesso al fondo AIFA del 5%, affermando che i fondi dedicati sono disponibili e che eventuali resistenze da parte delle Amministrazioni ospedaliere non sono motivate in quanto la spesa per i farmaci con accesso al fondo AIFA del 5% sono a carico dell'Agenzia senza aggravio sui

bilanci ospedalieri. Al contempo, il Prof. Melazzini fa anche presente l'esistenza dei Bandi per la ricerca indipendente AIFA cui si potrebbe fare richiesta per il finanziamento di uno studio indipendente rammentando la possibilità per le Aziende di cofinanziare tali progetti.

Interviene il dott. Buccella il quale conferma che nelle Direzioni sanitarie e nelle farmacie ospedaliere si generano quasi sempre difficoltà burocratiche che allungano i tempi per l'accesso al farmaco e che, molto spesso, inducono i clinici, non appartenenti a centri di altissima specializzazione, a desistere nell'attivare la procedura di richiesta di accesso al fondo 5%, generando di fatto una disomogeneità di accesso alla cura.

La dott.ssa Sansone, in sintonia con il punto di vista del dott. Buccella, chiede al Direttore Prof. Melazzini se possa essere messa in atto un'attività di sensibilizzazione nei confronti degli ospedali su questa tematica da parte di AIFA.

Il Prof. Melazzini ribadisce che la legge n. 326/2003 è una legge dello stato volta ad accogliere soddisfare un bisogno terapeutico non soddisfatto e consiglia all'associazione Parent Project di intensificare la sua attività di promozione e divulgazione della stessa.

AIFA si farà promotrice presso le Commissioni Salute delle Regioni per sensibilizzare ulteriormente sullo strumento del fondo 5% AIFA ex L. 326/2003 e del suo potenziale utilizzo.

La dott.ssa Sansone è invitata a rivolgersi all'Area Pre-Autorizzazione per valutare la possibilità di disegnare uno studio da sottomettere nel prossimo Bando Ricerca Indipendente. Il dott. Cirrincione conclude l'incontro confermando che Santhera sta lavorando ad un nuovo dossier per il CHMP per finalizzare una nuova richiesta di autorizzazione ad EMA.