



REGIONE DEL VENETO

giunta regionale

114

14 OTT. 2021

DECRETO N. DEL

OGGETTO: Individuazione dei Centri regionali autorizzati alla prescrizione del farmaco ataluren (Translarna – Registered) per le nuove indicazioni terapeutiche nella distrofia muscolare di Duchenne dovuta a mutazione nonsense nel gene della distrofina in pazienti deambulanti di età pari o superiore a due anni.

NOTE PER LA TRASPARENZA:

a seguito della determina AIFA n. DG/817 del 7.7.2021, si individuano i Centri regionali autorizzati alla prescrizione del farmaco ataluren (Translarna –Registered) per nuove indicazioni terapeutiche.

IL DIRETTORE GENERALE
AREA SANITÀ E SOCIALE

- VISTA la deliberazione della Giunta Regionale 21.1.2019, n. 36 “Rete regionale delle Commissioni preposte alla valutazione dei farmaci. Rinnovo della Commissione Tecnica Regionale Farmaci per il triennio 2019-2021. Aggiornamento delle funzioni delle Commissioni Terapeutiche Aziendali” laddove attribuisce alla CTRF, tra gli altri, il compito di “supportare l’Area Sanità e Sociale nel rilascio delle autorizzazioni alla prescrizione di farmaci soggetti a Registro AIFA o Piano Terapeutico o nota AIFA e per i quali la normativa preveda una individuazione dei Centri da parte delle Regioni” stabilendo, altresì, che per l’adozione dei provvedimenti i pareri della CTRF siano inoltrati al Direttore Generale dell’Area Sanità e Sociale per il controllo sulla coerenza con le attività di programmazione regionale, nonché per le ricadute economiche ed organizzative degli stessi;
- VISTA la D.G.R. 14.5.2019, n. 614 <<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 D.G.R. n. 763 del 14.5.2015 di recepimento dell’Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano sul documento “Piano nazionale per le malattie rare (PNMR)” e di aggiornamento della rete dei Centri Interregionali di Riferimento dell’area vasta, accreditati per le Malattie Rare;
- VISTA la D.G.R. n. 1522 del 25.9.2017 <<Decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri del 12 gennaio 2017 “Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all’art. 1, comma 7, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502” Attuazione dell’allegato 7 - “Elenco malattie rare esentate dalla partecipazione al costo”>>;
- VISTA la determina AIFA n. DG/817 del 7.7.2021 (G.U. n. 170 del 17.7.2021) - *Regime di rimborsabilità e prezzo, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche, del medicinale per uso umano «Translarna», la quale per la nuova indicazione a carico SSN trattamento della distrofia muscolare di Duchenne dovuta a mutazione nonsense nel gene della distrofina (nonsense mutation Duchenne muscular dystrophy, nmDMD) nei pazienti deambulanti di età pari o superiore a due anni. La presenza di*

una mutazione nonsense nel gene della distrofina deve essere stabilita mediante analisi genetiche – stabilisce che tale medicinale:

- ai fini della rimborsabilità è classificato in classe H;
- ai fini della fornitura come medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, da rinnovare volta per volta, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti - centri individuati dalle regioni (RNRL);

VISTA la legge regionale n. 19 del 25 ottobre 2016 - *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;

PRESO ATTO del parere del Coordinamento Regionale per le Malattie Rare (di cui alla D.G.R. n. 2169 del 8.8.2008) e dell'attività svolta a supporto della scelta di adozione del presente provvedimento dalla Commissione Tecnica Regionale Farmaci, come da verbale del 23.9.2021;

DECRETA

1. di individuare, ai fini della prescrizione del farmaco ataluren (Translarna –Registered) per le nuove indicazioni terapeutiche nel trattamento della distrofia muscolare di Duchenne dovuta a mutazione nonsense nel gene della distrofina nei pazienti deambulanti di età pari o superiore a due anni, di cui alla determina AIFA n. DG/817 del 7.7.2021 in premessa descritta, le seguenti Unità Operative già Centri regionali di riferimento per le Malattie Rare:

Azienda ULSS/Ospedaliera/IRCCS	Unità Operativa autorizzata
Azienda Ospedale Università Padova	UOC Neurologia UOC Pediatria
Azienda Ospedaliero Universitaria Integrata Verona	UOC Neuropsichiatria infantile UOC Neurologia B (Polo Borgo Roma)
IRCCS Eugenio Medea di Conegliano (TV)	

2. di precisare che la prescrizione del farmaco in oggetto da parte dei Centri di cui al punto 1, è soggetta alla compilazione del Registro per le Malattie Rare istituito con D.G.R. n. 741/2000;
3. di dare atto che il presente provvedimento non comporta spesa a carico del bilancio regionale;
4. di comunicare il presente provvedimento per il seguito di competenza ad Azienda Zero, Aziende ULSS, Aziende Ospedaliere, IRCCS e alle Strutture private-accreditate della Regione del Veneto;
5. di pubblicare il presente provvedimento in forma integrale nel Bollettino Ufficiale della Regione.



F.to dr Luciano Flor