



## Scheda informativa: Zavesca® (miglustat)

Data di redazione: 15-10-2020

<b>Nome commerciale</b>	Zavesca®
<b>Principio attivo</b>	Miglustat
<b>Indicazione oggetto di valutazione</b>	Dal 2005: indicato per il trattamento orale della malattia di Gaucher di tipo 1 di pazienti adulti con sintomatologia da lieve a moderata. Dal 2010: indicato per il trattamento delle manifestazioni neurologiche progressive in pazienti adulti ed in pazienti in età pediatrica affetti dalla malattia di Niemann-Pick di tipo C.
<b>Classificazione (nuova entità terapeutica, estensione delle indicazioni...)</b>	Rinegoziazione e armonizzazione del regime di fornitura
<b>Determina (n./data) e GU (n./data)</b>	Determina n. 901 del 04-09-2020 GU n. 230 del 16-09-2020
<b>Ditta produttrice</b>	Janssen-Cilag International N.V.
<b>ATC e descrizione</b>	A16AX06 miglustat, altri farmaci dell'apparato gastrointestinale e del metabolismo
<b>Formulazione</b>	capsule
<b>Dosaggio</b>	100 mg
<b>Posologia</b>	- Gaucher di tipo 1: 100 mg 3 volte al giorno. Non è stata stabilita efficacia e sicurezza nei pazienti <18 anni; - Niemann-Pick di tipo C: 200 mg 3 volte al giorno. In età pediatrica (dai 4 anni) dipende dalla superficie corporea e può iniziare con 100 mg 1 volta al giorno.
<b>Meccanismo di azione</b>	Entrambe le patologie in oggetto rientrano nelle malattie da accumulo lisosomiale. - Gaucher di tipo 1: è dovuta alla carenza di $\beta$ -glucocerebrosidasi che causa accumulo di glucocerebroside nei lisosomi del sistema monocito-macrofagico. - Niemann-Pick di tipo C: disordine neurodegenerativo causato da un deficit nel trasporto intracellulare del colesterolo esogeno (LDL) con alterazioni secondarie e conseguente accumulo della sfingomieline, glicolipidi, sfingosina libera e della sfinganina.  Miglustat inibisce l'enzima glucosilceramide sintetasi (enzima che catalizza il primo step della biosintesi degli sfingolipidi), riducendo la



	formazione e l'accumulo di glucosilcerebroside e sfingosina.
<b>Farmaco innovativo (ai sensi della determina n. 1535/2017)</b>	No
<b>Accesso al Fondo (ex art. 1, c. 403 della Legge di bilancio 2017)</b>	/
<b>Classificazione ai fini della rimborsabilità</b>	A
<b>Classificazione ai fini della fornitura</b>	Medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti - internista, pediatra, neurologo - centri regionali per le malattie rare individuati dalle regioni e dalle Province autonome di Trento e Bolzano (RRL)
<b>Nota AIFA</b>	No
<b>PT/PHT</b>	Inserito in PHT ma distribuito attraverso l'erogazione diretta esclusiva
<b>Prezzo Ex-factory (IVA esclusa)</b>	84 cps da 100 mg: 6.500,00 €
<b>Ulteriori condizioni negoziali (qualora previste)</b>	Sconto obbligatorio sul prezzo ex-factory, da praticarsi alle strutture sanitarie pubbliche, ivi comprese le strutture sanitarie private accreditate con il Servizio sanitario nazionale, come da condizioni negoziali.
<b>Registro AIFA (specificare principali criteri di eleggibilità)</b>	No
<b>Il principio attivo è già autorizzato per altre indicazioni?</b>	No
<b>Sono presenti altri farmaci già autorizzati per la stessa patologia? Se sì, indicare i riferimenti del decreto di autorizzazione</b>	Non pertinente
<b>E' presente una Rete di patologia o Centri specializzati deliberati dalla Regione Veneto?</b>	Centri accreditati per le malattie rare (DGR n. 1522/2017)
<b>Sono presenti requisiti specifici per i Centri che trattano la patologia in oggetto?</b>	Secondo modalità di accreditamento per la Rete Malattie Rare
<b>Sono presenti Linee di indirizzo/Raccomandazioni regionali con competitor oppure relative all'indicazione in oggetto? Se sì, indicare gli estremi del Decreto di autorizzazione</b>	No
<b>Stima dei pazienti in Regione Veneto che, a regime, saranno trattati con il farmaco in oggetto.</b>	Nel 2019 risulta siano stati trattati con medicinali a base di miglustat 13 pazienti.
<b>Place in therapy</b>	Non pertinente
<b>Analisi dei costi</b>	<b>Tabella 1</b>



**Tabella 1.** Costi della terapia (IVA incl. calcolati in base al prezzo SSN inferiore derivante da gara regionale o prezzo massimo SSN).

Specialità	posologia	n. cps/die	costo/die (IVA incl)	costo annuale (IVA incl.)	Δ vs Zavesca
ZAVESCA 84 cps da 100 mg	1. gaucher: 100 mg 3 volte die	3	€ 111,54	€ 40.711,96	/
	2. NP: 200 mg 3 volte die	6	€ 223,08	€ 81.423,91	
	2.a NP bb: 100 mg 1 volta die	1	€ 37,18	€ 13.570,65	
MIGLUSTAT ACC* 84CPS 100MG	1. gaucher: 100 mg 3 volte die	3	€ 88,75	€ 32.393,82	-20%
	2. NP: 200 mg 3 volte die	6	€ 177,50	€ 64.787,65	
	2.a NP bb: 100 mg 1 volta die	1	€ 29,58	€ 10.797,94	

bb: bambino; NP: Niemann-Pick