


Scheda informativa: Takhzyro® (lanadelumab)
Data di redazione: 18/06/2020

Nome commerciale	Takhzyro®
Principio attivo	Lanadelumab
Indicazione oggetto di valutazione	<p><u>Indicazione da GU</u> Prevenzione di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (HAE) in pazienti di età pari o superiore ai 12 anni.</p> <p><u>Indicazione rimborsata a carico SSN:</u> Prevenzione di routine nei pazienti di età ≥ 12 anni intolleranti, che presentano controindicazioni o che risultano insufficientemente protetti dai trattamenti di prevenzione con danazolo (definibili come soggetti che necessitano da almeno 3 mesi di 4 o più trattamenti in acuto al mese).</p>
Classificazione (nuova entità terapeutica, estensione delle indicazioni...)	Nuova entità terapeutica
Determina (n./data) e GU (n./data)	Determina n. 330 del 27-03-2020 GU n.96 del 10-04-2020
Ditta produttrice	Shire Pharmaceuticals Ireland Limited
ATC e descrizione	B06AC05, Farmaci usati nell'angioedema ereditario, anticorpo monoclonale
Formulazione	Soluzione iniettabile – uso sc
Dosaggio	300 mg in soluzione da 2 ml
Posologia	300 mg ogni 2 settimane. Nei pazienti liberi da attacchi, somministrare 300 mg ogni 4 settimane.
Meccanismo di azione	Lanadelumab è un anticorpo monoclonale completamente umanizzato che inibisce l'attività proteolitica della callicreina plasmatica attiva. L'aumento dell'attività della callicreina plasmatica è associato ad attacchi di angioedema nei pazienti con HAE attraverso la proteolisi del chininogeno ad alto peso molecolare (HMWK) per generare HMWK clivato (cHMWK) e bradichinina. Lanadelumab fornisce un controllo sostenuto dell'attività della callicreina plasmatica e limita quindi la generazione di bradichinina in pazienti con HAE.
Farmaco innovativo (ai sensi della determina n. 1535/2017)	No
Accesso al Fondo (ex art. 1, c. 403 della Legge di bilancio 2017)	No



Classificazione ai fini della rimborsabilità	A
Classificazione ai fini della fornitura	Medicinale soggetto a prescrizione medica ripetibile (RR)
Nota AIFA	No
PT/PHT	Prescrizione soggetta a diagnosi e piano terapeutico cartaceo AIFA (Allegato 1) che può essere redatto solo da medici specialisti, esperti della patologia e afferenti ai Centri di Riferimento riconosciuti dalle Regioni e Province autonome.
Prezzo Ex-factory (IVA esclusa)	1 fl da 2 ml (150 mg/ml): 15.696,40€
Ulteriori condizioni negoziali (qualora previste)	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.
Registro AIFA (specificare principali criteri di eleggibilità)	No
Il principio attivo è già autorizzato per altre indicazioni?	No
Sono presenti altri farmaci già autorizzati per la stessa patologia? Se sì, indicare i riferimenti del decreto di autorizzazione	Sì, il Cinryze (C1 inibitore umano). Centri individuati con DGR n. 1451/2018 che rinvia alla DGR n. 1522/2017 di identificazione Centri per le Malattie Rare
E' presente una Rete di patologia o Centri specializzati deliberati dalla Regione Veneto?	Centri accreditati per le malattie rare (DGR n. 1522/2017)
Sono presenti requisiti specifici per i Centri che trattano la patologia in oggetto?	Secondo modalità di accreditamento per la Rete Malattie Rare
Sono presenti Linee di indirizzo/Raccomandazioni regionali con competitor oppure relative all'indicazione in oggetto? Se sì, indicare gli estremi del Decreto di autorizzazione	No
Stima dei pazienti in Regione Veneto che, a regime, saranno trattati con il farmaco in oggetto.	Dal flusso esenzioni: - nel 2019: risultano 115 pazienti con esenzione RC0190, di cui 106 \geq 12 anni; - nel 2020 (da gennaio al 25 maggio), risultano 116 pazienti esenti di cui 107 \geq 12 anni. Dal Registro Malattie Rare: gli assistiti veneti con diagnosi certificata di Angioedema ereditario attraverso il Registro Regionale Malattie Rare sono attualmente 135. In riferimento all'indicazione terapeutica rimborsata a carico SSN, si segnala che il 92% (124) degli assistiti veneti ha un'età pari o superiore a 12 anni. Nel mese corrente, dei 97 assistiti veneti rilevati con PTP attivo sul sistema informativo, 10 sono in



	<p>trattamento con il farmaco Cinryze® da solo oppure in terapia di combinazione.</p> <p>Si annoverano anche due pazienti in trattamento con danazolo in terapia di combinazione.</p>
Place in therapy	<p>La terapia di profilassi può essere presa in considerazione qualora la durata, la frequenza e l'intensità degli attacchi rendano necessario un controllo della patologia nel lungo periodo, la patologia risulta debilitante.</p> <p><i>(Maurer M et al. Allergy; 2018; 73, 1575–96)</i></p>
Analisi dei costi	<p>Costi terapia annua SSN al netto degli sconti di legge e dell'eventuale sconto confidenziale, IVA inclusa:</p> <p>Lanadelumab (Takhzyro®):</p> <ul style="list-style-type: none"> - 300 mg/q2w: = 202.574€ - 300 mg/q4w: = 101.287€ <p>C1-inibitore (Cinryze®)[§]:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Adulti, 1000 UI/3-4 gg: 137.751 € - Bambini, 500 UI/3-4 gg: 34.437,86 € <p>§ considerata una somministrazione ogni 3,5 giorni</p>

**Allegato 1. Piano Terapeutico AIFA per la prescrizione di Takhzyro® (lanadelumab).****PIANO TERAPEUTICO AIFA****PER LA PRESCRIZIONE DI TAKHZYRO (Lanadelumab)**

Centro Prescrittore: _____

Medico prescrittore (nome e cognome): _____

Recapito telefonico: _____ e-mail: _____

Paziente (nome e cognome): _____

Data di nascita: __/__/__ Sesso: M F Codice Fiscale: _____

Residente a: _____

ASL di residenza: _____ Prov.: _____ Regione: _____

Medico di Medicina Generale/Pediatra di Libera Scelta:
_____**La prescrizione di Takhzyro è a carico del SSN nelle seguenti condizioni:**

Prevenzione di routine nei pazienti di età ≥ 12 anni intolleranti, che presentano controindicazioni o che risultano insufficientemente protetti dai trattamenti di prevenzione con danazolo (definibili come soggetti che necessitano da almeno 3 mesi di 4 o più trattamenti in acuto al mese)

NOTA BENE: TAKHZYRO non deve essere usato per il trattamento di attacchi di HAE acuto.

Il Piano terapeutico per Takhzyro può essere redatto solo da medici specialisti, esperti della patologia Angioedema Ereditario afferenti ai Centri di Riferimento riconosciuti dalle Regioni e Province autonome.

Negli ultimi 12 mesi

Grado di severità : Giornate di invalidità

Numero di attacchi al mese con necessità di trattamento acuto: <1 da 1 a 3 4 o più

Trattamento di profilassi con danazolo: inefficace efficace solo a dosaggi >200 mg/die
 non tollerato controindicato

Piano terapeutico valido 12 mesi Prima prescrizione Prosecuzione terapia

Dose prescritta adulti/adolescenti (≥ 12 anni): 300 mg ogni 2 settimane*

Dose prescritta nei pazienti stabilmente liberi da attacchi, in particolare di basso peso: 300 mg ogni 4 settimane

* Se si salta una dose di TAKHZYRO, è necessario assumere la dose non appena possibile assicurandosi che passino almeno 10 giorni tra le dosi.

Rivalutazione dopo: _____

Data, __/__/__

Timbro e firma del medico ospedaliero
o del medico specialista prescrittore