


**Scheda informativa: Myalepta® (metreleptina)**
**Data di redazione: 18/06/2020**

<b>Nome commerciale</b>	Myalepta®
<b>Principio attivo</b>	Metreleptina
<b>Indicazione oggetto di valutazione</b>	<p><u>Indicazione rimborsata:</u> Myalepta® è indicato in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD):</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• con diagnosi confermata di LD generalizzata congenita (sindrome di Berardinelli-Seip) o di LD generalizzata acquisita (sindrome di Lawrence) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 2 anni.</li> </ul> <p><u>Non è previsto il rimborso a carico SSN della seguente indicazione terapeutica:</u> Myalepta® è indicato in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD):</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• con diagnosi confermata di LD parziale familiare o di LD parziale acquisita (sindrome di Barraquer-Simons) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 12 anni, per i quali le terapie standard non sono riuscite a raggiungere un controllo metabolico adeguato.</li> </ul>
<b>Classificazione (nuova entità terapeutica, estensione delle indicazioni...)</b>	Nuova entità terapeutica
<b>Determina (n./data) e GU (n./data)</b>	Determina n. 208 del 21-02-2020 GU n.72 del 19-03-2020
<b>Ditta produttrice</b>	Aegerion Pharmaceuticals BV
<b>ATC e descrizione</b>	A16AA07, altri prodotti per il tratto alimentare e il metabolismo, aminoacidi e derivati
<b>Formulazione</b>	Polvere per soluzione iniettabile – uso sc
<b>Dosaggio</b>	3 mg – 5,8 mg - 11,3 mg
<b>Posologia</b>	Giornaliera a seconda del peso corporeo. La dose massima giornaliera risulta essere: maschi e femmine ≤ 40 kg: 0,13 mg/kg (0,026 ml/kg) maschi > 40 kg: 10 mg (2 ml) femmine > 40 kg: 10 mg (2 ml)



	<p>La scheda tecnica riporta la definizione di risposta clinica minima, identificata come almeno:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• una riduzione di emoglobina glicata (HbA1c) dello 0,5% e/o una riduzione del fabbisogno insulinico del 25% e / o</li> <li>• una riduzione del livello dei trigliceridi (TG) del 15%.</li> </ul> <p>Se non si osserva una risposta clinica dopo 6 mesi di trattamento, il medico deve assicurarsi che il paziente applichi la tecnica di somministrazione in modo corretto, stia ricevendo una dose adeguata e stia seguendo la dieta. Prima di interrompere il trattamento, prendere in considerazione la possibilità di aumentare la dose.</p>
<b>Meccanismo di azione</b>	<p>Metreleptina è un analogo ricombinante della leptina umana e viene somministrata come terapia sostitutiva per trattare le conseguenze metaboliche dovute alla sua carenza. Simula gli effetti fisiologici della leptina legando e attivando il recettore della leptina umana appartenente alla famiglia dei recettori di classe I per le citochine che trasducono il segnale tramite la via Janus kinases (JAKs)/ Signal Transducer and Activator of Transcription (STAT)JAK/STAT. Favorisce il metabolismo del glucosio, stimola l'ossidazione di acidi grassi diminuendone i livelli nel plasma, fegato e fibre muscolari e riduce l'iperfagia.</p>
<b>Farmaco innovativo (ai sensi della determina n. 1535/2017)</b>	Sì, condizionata
<b>Accesso al Fondo (ex art. 1, c. 403 della Legge di bilancio 2017)</b>	No
<b>Classificazione ai fini della rimborsabilità</b>	H
<b>Classificazione ai fini della fornitura</b>	Prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti – endocrinologo, pediatra (RRL)
<b>Nota AIFA</b>	No
<b>PT/PHT</b>	Prescrizione del medicinale soggetta a scheda cartacea ospedaliera AIFA per la sola indicazione rimborsata a carico SSN ( <b>Allegato 1</b> )
<b>Prezzo Ex-factory (IVA esclusa)</b>	30 fl 3 mg: 19.361,85€ 30 fl 5,8 mg: 38.723,70€ 30 fl 11,3 mg: 77.447,40€
<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>	No
<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>	I pazienti con codice di esenzione RC0080 residenti in Regione Veneto sono 3, con età di 10, 14 e 39 anni, e residenti nelle AULSS Scaligera, Pedemontana ed Euganea, rispettivamente. Di questi, solo la paziente residente nella ULSS Scaligera risulta inserita nel Registro Malattie Rare.
<b>Place in therapy</b>	Metreleptina è l'unica terapia specifica per la lipodistrofia e rappresenta, attualmente, la sola opzione terapeutica. La gestione delle complicanze associate alla patologia consiste nella modifica del regime dietetico e nella somministrazione di farmaci antidiabetici orali e iniettivi.
<b>Analisi dei costi</b>	Costo SSN della terapia/annua al netto delle riduzioni di legge ed eventuali sconti confidenziali, IVA incl.: - dosaggio da 10 mg/die: 461.315 € - dosaggio da 5 mg/die: 230.658€ - dosaggio da 2,5 mg/die: 115.329 €

