



# REGIONE DEL VENETO

giunta regionale

DECRETO N. **39** DEL **17 MAR. 2025**

OGGETTO: Individuazione di ulteriori Centri autorizzati alla prescrizione dei farmaci romiplostim (Nplate - Registered), eltrombopag (Revolade - Registered), avatrombopag (Doptelet - Registered), fostamatinib (Tavlesse - Registered), luspatercept (Reblozyl - Registered), ravulizumab (Ultomiris - Registered) e pegcetacoplan (Aspaveli - Registered), velmanase alfa (Lamzede - Registered), olipudase alfa (Xenpozyme - Registered) e odevixibat sesquidrato (Bylvay - Registered).

NOTE PER LA TRASPARENZA:

Con il presente provvedimento si autorizzano quali ulteriori Centri prescrittori dei farmaci romiplostim (Nplate - Registered), eltrombopag (Revolade - Registered), avatrombopag (Doptelet - Registered), fostamatinib (Tavlesse - Registered), luspatercept (Reblozyl - Registered), ravulizumab (Ultomiris - Registered) e pegcetacoplan (Aspaveli - Registered), l'Unità Operativa Complessa Oncoematologia dell'Ospedale di Bassano del Grappa - Azienda ULSS 7 Pedemontana, nonché dei farmaci velmanase alfa (Lamzede - Registered) e olipudase alfa (Xenpozyme - Registered) l'Unità Operativa Complessa Medicina d'Urgenza dell'Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata di Verona e del farmaco odevixibat sesquidrato (Bylvay - Registered) l'Unità Operativa Complessa Gastroenterologia B dell'Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata (AOUI) di Verona.

---

IL DIRETTORE GENERALE  
AREA SANITÀ E SOCIALE

VISTA la Legge regionale 25 ottobre 2016, n. 19 "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" e s.m.i.;

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 614 del 14 maggio 2019 "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 Deliberazione della Giunta regionale n. 1460 novembre 2023 "Recepimento dell'Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano Rep. atti n. 121/CSR del 24 maggio 2023 sul "Piano nazionale per le malattie rare (PNMR)" e sul "Documento di riordino della rete malattie rare". Aggiornamento della rete dei Centri di riferimento per le malattie rare dell'area vasta e definizione della rete dei Centri di eccellenza e definizione dei compiti del Coordinamento regionale malattie rare", che, tra l'altro, riconosce l'UOC Oncoematologia dell'Ospedale di Bassano del Grappa dell'AULSS 7 Pedemontana, all'interno della rete regionale dei Centri accreditati per il trattamento e la diagnosi di talune malattie rare;

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 1462 del 27 novembre 2023 "Rete regionale delle Commissioni preposte alla valutazione dei farmaci: rinnovo e aggiornamento delle funzioni e della composizione della Commissione Tecnica Regionale Farmaci (CTRF) per il triennio 2023-2026. Aggiornamento delle funzioni delle Commissioni Terapeutiche Aziendali/Sovraziendali" che attribuisce alla CTRF, tra gli altri, il compito di "supportare l'Area Sanità e Sociale nell'individuazione dei centri autorizzati alla prescrizione di farmaci soggetti a Registro AIFA o Piano Terapeutico o nota AIFA e/o scheda prescrittiva; farmaci per i quali la normativa preveda una

*individuazione dei Centri da parte delle Regioni o farmaci per i quali si ritiene necessario governare l'appropriatezza prescrittiva e garantire l'expertise";*

VISTO il Decreto del Direttore Generale Area Sanità e Sociale n. 9 del 8 febbraio 2023 *"Approvazione atto aziendale Azienda Zero"*, nella parte in cui, il suddetto atto aziendale, dispone che tra le funzioni che Azienda Zero - U.O.C. Governo Clinico deve assicurare, sono indicate *"analisi e gestione del Registro AIFA, dei Registri regionali e supporto all'informatizzazione dei percorsi prescrittivi, formazione e informazione degli utilizzatori"*;

VISTI i Decreti del Direttore Generale Area Sanità e Sociale:

- n. 100 del 25 settembre 2020 che ha, da ultimo, integrato l'elenco dei Centri autorizzati alla prescrizione del farmaco velmanase alfa (Lamzede - Registered);
- n. 144 del 24 ottobre 2022 che ha, da ultimo, integrato l'elenco dei Centri autorizzati alla prescrizione del farmaco odevixibat sesquidrato (Blyvay - Registered);
- n. 192 del 29 dicembre 2023 che ha, da ultimo, integrato l'elenco dei Centri autorizzati alla prescrizione del farmaco olipudase alfa (Xenpozime - Registered);
- n. 91 del 25 giugno 2024 che ha, da ultimo, integrato l'elenco dei Centri autorizzati alla prescrizione dei farmaci romiplostim (Nplate - Registered), eltrombopag (Revolade - Registered), avatrombopag (Doptelet - Registered), fostamatinib (Tavlesse - Registered), luspatercept (Reblozyl - Registered), ravulizumab (Ultomiris - Registered) e pegcetacoplan (Aspaveli Registered);

VISTE le Determine AIFA:

- n. 1505 del 5 settembre 2017 *"Regime di rimborsabilità e prezzo a seguito di nuove indicazioni terapeutiche del medicinale per uso umano «Nplate»"* e s.m.i., laddove il farmaco romiplostim (Nplate - Registered), indicato *"in pazienti adulti affetti da porpora trombocitopenia autoimmune (idiopatica) (PTI) cronica che sono refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)"*, è stato classificato in classe di rimborsabilità H;
- n. 1683 del 3 ottobre 2017 *"Regime di rimborsabilità e prezzo, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche, del medicinale per uso umano «Revolade»"*, laddove il farmaco eltrombopag (Revolade - Registered), indicato *"in pazienti di età superiore ad un anno affetti da porpora trombocitopenica autoimmune (idiopatica) cronica (ITP) che sono refrattari ad altri trattamenti (ad esempio corticosteroidi, immunoglobuline)"*, è stato classificato in classe di rimborsabilità H e prescrizione soggetta a compilazione del Registro di Monitoraggio AIFA, successivamente chiuso con Determina AIFA n. DG/785/2020;
- n. 788 del 3 agosto 2020 *"Riclassificazione del medicinale per uso umano «Lamzede» ai sensi dell'art. 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537"* laddove il farmaco velmanase alfa (Lamzede - Registered), indicato come *"terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento di manifestazioni non neurologiche in pazienti affetti da alfa-mannosidosi da lieve a moderata"*, è stato classificato in classe di rimborsabilità H e, ai fini delle prescrizioni, è soggetto alla compilazione *"della scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili e la scheda di follow-up e applicare le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito dell'Agenzia, piattaforma web, all'indirizzo <https://servizionline.aifa.gov.it>. Nelle more della piena attuazione del registro di monitoraggio web-based, onde garantire la disponibilità del trattamento ai pazienti le prescrizioni dovranno essere effettuate in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale dell'AIFA: <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1>";*
- n. 1060 del 9 settembre 2021 *"Riclassificazione del medicinale per uso umano «Tavlesse», ai sensi dell'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537"* laddove il farmaco fostamatinib (Tavlesse - Registered), indicato per il *"trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) cronica in pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti"*, è stato classificato in classe di rimborsabilità H e, ai fini delle prescrizioni, è soggetto alla compilazione *"della scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili e la scheda di follow-up e applicare le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito dell'Agenzia, piattaforma web, all'indirizzo <https://www.agenziafarmaco.gov.it/registri>";*
- n. DG/1401 del 24 novembre 2021 *"Riclassificazione del medicinale per uso umano «Reblozyl», ai sensi dell'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537"*, rettificata con successiva Determina AIFA n. 1636 del 27 dicembre 2021, laddove il farmaco luspatercept (Reblozyl - Registered), indicato *"per il trattamento di pazienti adulti con anemia trasfusione-dipendente dovuta a sindrome mielodisplastica (SMD) a rischio molto basso, basso e intermedio, che presentano sideroblasti ad anello con risposta insoddisfacente o non idonei a terapia basata su eritropoietina"*, è stato classificato in classe di rimborsabilità A/PHT e, ai fini delle prescrizioni, è soggetto alla compilazione *"della scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti*

- eleggibili e la scheda di follow-up e applicare le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito dell'Agenzia, piattaforma web, all'indirizzo <https://servizionline.aifa.gov.it>“;
- n. DG/1542 del 16 dicembre 2021 “Riclassificazione del medicinale per uso umano «Ultomiris», ai sensi dell'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537” laddove il farmaco ravulizumab (Ultomiris - Registered), indicato per il “trattamento rimborsato di pazienti adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN): in pazienti in emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia; in pazienti clinicamente stabili dopo trattamento con eculizumab per almeno gli ultimi sei mesi” è stato classificato in classe di rimborsabilità H e, ai fini delle prescrizioni, è soggetto “alla compilazione della scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili e la scheda di follow-up e applicare le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito dell'Agenzia, piattaforma web, all'indirizzo <https://servizionline.aifa.gov.it>”;
  - n. 327 del 9 maggio 2022 “Regime di rimborsabilità e prezzo, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche, del medicinale per uso umano «Doptelet»” laddove il farmaco avatrombopag (Doptelet – Registered), indicato per il “trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) primaria cronica nei pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)”, è stato classificato in classe di rimborsabilità H;
  - n. 532 del 26 luglio 2022 “Regime di rimborsabilità e prezzo del medicinale per uso umano «Aspaveli»” laddove il farmaco pegcetacoplan (Aspaveli Registered)”, indicato per il “trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno TRE mesi”, è stato classificato in classe di rimborsabilità H e, ai fini delle prescrizioni, è soggetto “alla compilazione della scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili e la scheda di follow-up e applicare le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito dell'Agenzia, piattaforma web, all'indirizzo <https://servizionline.aifa.gov.it>”;
  - n. 567 del 3 agosto 2022 “Riclassificazione del medicinale per uso umano «Bylvay», ai sensi dell'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537”, laddove il farmaco odevixibat sesquidrato (Bylvay - Registered), indicato “per il trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva (progressive familial intrahepatic cholestasis, PFIC) in pazienti di età pari o superiore ai sei mesi”, è stato classificato in classe di rimborsabilità H e, ai fini delle prescrizioni, è soggetto alla “compilazione della scheda di raccolta dati informatizzata disponibile a fronte dell'accesso attraverso il sito istituzionale dell'AIFA, all'indirizzo web <https://servizionline.aifa.gov.it>”;
  - n. 683 del 14 novembre 2023 “Riclassificazione del medicinale per uso umano «Xenpozyme», ai sensi dell'art. 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537”, laddove il farmaco olipudase alfa (Xenpozyme - Registered), indicato “come terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche del deficit di sfingomielinasi acida (ASMD) di tipo A/B o B in pazienti pediatriche e adulti”, è stato classificato in classe di rimborsabilità H e, ai fini delle prescrizioni, è soggetto alla “compilazione della scheda di raccolta dati informatizzata disponibile a fronte dell'accesso attraverso il sito istituzionale dell'AIFA, all'indirizzo web <https://registri.aifa.gov.it>”;

PRESO ATTO dei Codici di esenzione malattia rara, di cui alla sopra richiamata DGR n. 1460/2023, di seguito riportati:

- “RDG031– piastrinopatie autoimmuni primarie croniche”, che afferisce alle indicazioni sopra richiamate dei farmaci romiplostim (Nplate - Registered), eltrombopag (Revolade - Registered), avatrombopag (Doptelet - Registered) e fostamatinib (Tavlesse - Registered);
- “RDG050 – sindromi mielodisplastiche” che afferisce all’indicazione sopra richiamata del farmaco luspatercept (Reblozyl - Registered);
- “RD0020 – Emoglobinuria Parossistica Notturna” (EPN), che afferisce alle indicazioni sopra richiamate dei farmaci ravulizumab (Ultomiris - Registered) e pegcetacoplan (Aspaveli Registered);
- “RCG091- oligosacaridosi” che afferisce all’indicazione sopra richiamata del farmaco velmanase alfa (Lamzede – Registered);
- “RCG080 – difetti da accumulo di lipidi” che afferisce all’indicazione sopra richiamata del farmaco olipudase alfa (Xenpozyme - Registered);
- “RIG010 – colestasi intraepatiche progressive familiari” che afferisce all’indicazione sopra richiamata del farmaco odevixibat sesquidrato (Bylvay – Registered);

VISTA la richiesta, pervenuta dall’Azienda ULSS n. 7 “Pedemontana” del 22 novembre 2024, acquisita in pari data al protocollo regionale n. 594322, di riconoscere l’Unità Operativa Complessa di Oncoematologia dell’Ospedale di

Bassano del Grappa quale ulteriore Centro regionale autorizzato alla prescrizione dei farmaci romiplostim (Nplate - Registered), eltrombopag (Revolade - Registered), avatrombopag (Doptelet - Registered) e fostamatinib (Tavlesse - Registered) per il trattamento della porpora trombocitopenica autoimmune cronica; ravulizumab (Ultomiris - Registered) e pegcetacoplan (Aspaveli Registered) per il trattamento dell'EPN e luspatercept (Reblozyl - Registered) per il trattamento della sindrome mielodisplastica;

VISTE, altresì, le richieste, pervenute dall'Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata di Verona il 30 dicembre 2024 ed il 5 febbraio 2025, acquisite in pari data al protocollo regionale rispettivamente ai n. 662262 e n. 63745, di riconoscere:

- l'Unità Operativa Complessa di Gastroenterologia B quale ulteriore Centro regionale autorizzato alla prescrizione del farmaco odevixibat sesquidrato (Bylvay – Registered) per il trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva;
- l'Unità Operativa Complessa di Medicina d'Urgenza quale ulteriore Centro regionale autorizzato alla prescrizione dei farmaci velmanase alfa (Lamzede – Registered) e olipudase alfa (Xenpozyme – Registered) per il trattamento di manifestazioni non neurologiche del deficit di sfingomielinasi acida;

PRESO ATTO dell'attività svolta dalla CTRF, ai sensi della DGR n. 1462/2023, a supporto delle scelte finalizzate all'adozione del presente provvedimento, comprensiva del parere del Coordinamento Regionale per le Malattie Rare, come da verbale della seduta del 25.02.2025, agli atti della Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi medici;

PRESO ATTO, altresì, che la sopra richiamata DGR n. 1462/2023 stabilisce che i pareri della CTRF siano inoltrati al Direttore Generale dell'Area Sanità e Sociale, ai fini dell'adozione dei relativi provvedimenti, per il controllo sulla coerenza, di detti pareri, con le attività di programmazione regionale, nonché per le ricadute economiche ed organizzative degli stessi;

RITENUTE le decisioni della CTRF coerenti con la programmazione regionale;

#### DECRETA

1. di approvare le premesse quale parte integrante e sostanziale del presente provvedimento;
2. di individuare, l'UOC Oncoematologia dell'Ospedale di Basano del Grappa – Azienda ULSS n. 7 "Pedemontana", quale ulteriore Centro autorizzato alla prescrizione dei farmaci:
  - romiplostim (Nplate - Registered), indicato *"in pazienti adulti affetti da porpora trombocitopenia autoimmune (idiopatica) (PTI) cronica che sono refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)"*, di cui alla Determina AIFA n. 1505/2017;
  - eltrombopag (Revolade - Registered), indicato *"in pazienti di età superiore ad un anno affetti da porpora trombocitopenia autoimmune (idiopatica) cronica (ITP) che sono refrattari ad altri trattamenti (ad esempio corticosteroidi, immunoglobuline)"*, di cui alla Determina AIFA n. 1683/2017;
  - fostamatinib (Tavlesse - Registered), indicato *"per il trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) cronica in pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti"*, di cui alla Determina AIFA n. 1060/2021;
  - luspatercept (Reblozyl – Registered), indicato *"per il trattamento di pazienti adulti con anemia trasfusione-dipendente dovuta a sindrome mielodisplastica (SMD) a rischio molto basso, basso e intermedio, che presentano sideroblasti ad anello con risposta insoddisfacente o non idonei a terapia basata su eritropoietina"*, di cui alla Determina AIFA n. DG/1401/2021, rettificata dalla successiva Determina AIFA n. 1636/2021;
  - ravulizumab (Ultomiris - Registered), indicato per il *"trattamento rimborsato di pazienti adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN): in pazienti in emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia; in pazienti clinicamente stabili dopo trattamento con eculizumab per almeno gli ultimi sei mesi"*, di cui alla Determina AIFA n. DG/1542/2021;
  - avatrombopag (Doptelet - Registered), indicato *"per il trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) primaria cronica nei pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)"*, di cui alla Determina AIFA n. 327/2022;

- pegcetacoplan (Aspaveli Registered), indicato per il “trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno TRE mesi”, di cui alla Determina AIFA 532/2022;
3. di individuare, l’UOC Gastroenterologia B – AOUI di Verona, quale ulteriore Centro autorizzato alla prescrizione del farmaco odeixibat sesquidrato (Bylvay - Registered), indicato “per il trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva (progressive familial intrahepatic cholestasis, PFIC) in pazienti di età pari o superiore ai sei mesi”, di cui alla Determina AIFA n. 567/2022;
  4. di individuare, l’UOC Medicina d’Urgenza - AOUI di Verona, quale ulteriore Centro autorizzato alla prescrizione dei farmaci:
    - velmanase alfa (Lamzede – Registered), indicato come “terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento di manifestazioni non neurologiche in pazienti affetti da alfa-mannosidosi da lieve a moderata”, di cui alla Determina AIFA n. 788/2020;
    - olipudase alfa (Xenpozyme – Registered), indicato “come terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche del deficit di sfingomielinasi acida (ASMD) di tipo A/B o B in pazienti pediatrici e adulti”, di cui alla Determina AIFA 683/2023;
  5. di dare atto che la prescrizione dei farmaci fostamatinib (Tavlesse – Registered), luspatercept (Reblozyl – Registered), ravulizumab (Ultomiris - Registered), pegcetacoplan (Aspaveli Registered), velmanase alfa (Lamzede – Registered), olipudase alfa (Xenpozyme - Registered) e odeixibat sesquidrato (Bylvay - Registered), da parte dei Centri autorizzati di cui ai punti 2., 3. e 4., per le indicazioni sopra riportate, avverrà attraverso la compilazione del Registro di monitoraggio dell’Agenzia Italiana del Farmaco secondo le modalità definite dalla stessa nel proprio sito;
  6. di incaricare Azienda Zero - UOC Governo Clinico della Regione del Veneto all’abilitazione dei Centri autorizzati di cui ai punti 2., 3. e 4., all’uso dell’apposito applicativo informatico, e, contestualmente, dare comunicazione di avvenuta abilitazione alla Segreteria della Commissione Tecnica Regionale Farmaci;
  7. di dare atto che la prescrizione dei farmaci oggetto del presente provvedimento per le indicazioni sopra citate, associate ai codici di esenzione malattia rara di cui alla DGR n. 1460/2023, è soggetta anche alla compilazione del Registro per le Malattie Rare;
  8. di incaricare il Coordinamento Malattie Rare della Regione del Veneto dell’abilitazione dei Centri autorizzati di cui ai punti 2., 3. e 4., all’uso dell’apposito applicativo informatico e, contestualmente, dare comunicazione di avvenuta abilitazione alla Segreteria della Commissione Tecnica Regionale Farmaci;
  9. di incaricare la Direzione Farmaceutico-Protetica-Dispositivi Medici della comunicazione del presente provvedimento per il seguito di competenza ad Azienda Zero, Aziende ULSS, Aziende Ospedaliere, IRCCS, alle Strutture private-accreditate della Regione del Veneto e al Coordinamento Malattie Rare;
  10. di dare atto che il presente provvedimento non comporta spesa a carico del bilancio regionale;
  11. di pubblicare il presente provvedimento in forma integrale nel Bollettino ufficiale della Regione.



F.to Massimo Annicchiarico

