



REGIONE DEL VENETO

giunta regionale

DECRETO N. **116** DEL **05 AGO. 2025**

OGGETTO: Individuazione dei centri autorizzati alla prescrizione del farmaco eculizumab (Soliris - Registered) per la nuova indicazione terapeutica relativa all'età pediatrica (dai 6 ai 18 anni) per il trattamento dei pazienti affetti da Miastenia gravis generalizzata refrattaria (MGg).

NOTE PER LA TRASPARENZA:

Con il presente provvedimento, si individuano i Centri autorizzati alla prescrizione della nuova indicazione terapeutica del farmaco eculizumab (Soliris - Registered), di cui alla Determina AIFA 7 maggio 2025, n. 649 (G.U. n. 114 del 19 maggio 2025), relativa all'età pediatrica (dai 6 ai 18 anni) per il trattamento dei pazienti affetti da Miastenia gravis generalizzata refrattaria (MGg).

IL DIRETTORE GENERALE
DELL'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";

VISTO il Decreto del Direttore Generale Area Sanità e Sociale n. 146 del 24 ottobre 2022, che si intende qui integralmente richiamato e confermato, "Individuazione dei Centri Regionali autorizzati alla prescrizione del farmaco eculizumab (Soliris Registered) a seguito dell'autorizzazione di nuove indicazioni", che ha individuato i Centri regionali autorizzati alla prescrizione del farmaco eculizumab (Soliris - Registered) per il trattamento della Miastenia gravis generalizzata refrattaria (MGg) nei soli pazienti adulti positivi agli anticorpi antirecettore dell'acetilcolina (AChR);

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 - UOC Governo Clinico deve assicurare sono indicate "analisi e gestione del Registro AIFA e dei Registri regionali; supporto all'informatizzazione dei percorsi prescrittivi, formazione e informazione degli utilizzatori";

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 1460 del 27 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";

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, tra gli altri, i seguenti compiti:

- alla CTRF 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”* e di effettuare valutazioni al fine di favorire un uso appropriato, sicuro ed economicamente sostenibile dei farmaci;
- alle CTA/CTS di *“diffondere, in collaborazione con le Farmacie ospedaliere e i SFT, le informazioni e gli indirizzi prescrittivi elaborati dalla CTRF e verificarne l'applicazione”*;

VISTA la Determina AIFA 7 maggio 2025, n. 649 *“Regime di rimborsabilità e prezzo a seguito di nuove indicazioni terapeutiche di medicinali e Rinegoziazione di medicinali ai sensi dell'art. 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537”*, in base alla quale il farmaco eculizumab (Soliris - Registered), per la nuova indicazione terapeutica *“trattamento di bambini affetti da Miastenia gravis generalizzata (MGg) refrattaria a partire dai 6 anni di età positivi agli anticorpi anti-recettore dell'acetilcolina (AChR)”*, riferita specificatamente all'età pediatrica dai (dai 6 ai 18 anni), e per l'indicazione terapeutica *“trattamento di adulti affetti da Miastenia gravis generalizzata refrattaria (MGg) in pazienti positivi agli anticorpi anti-recettore dell'acetilcolina (AChR)”*, già ammessa alla rimborsabilità, è classificato:

- ai fini della rimborsabilità, a carico del SSN per l'indicazione, in classe H con prescrizione da parte dei centri utilizzatori specificamente individuati dalle regioni, mediante 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>. I medici ed i farmacisti abilitati all'accesso al registro di monitoraggio AIFA dovranno effettuare, rispettivamente, la prescrizione e la dispensazione del medicinale in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva, riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'AIFA: <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1>;
- ai fini della fornitura, come *“medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, utilizzabile esclusivamente in ambiente ospedaliero o in strutture ad esso assimilabili (OSP)”*;

PRESO ATTO che, alla sopra citata indicazione del farmaco eculizumab (Soliris - Registered), afferisce il Codice di esenzione malattia rara *“RFG101 – Sindromi miasteniche congenite e disimmuni”*, di cui alla DGR n. 1460/2023;

PRESO ATTO, altresì, che la CTRF nella seduta del 23.07.2025, agli atti della Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi medici, ha:

- individuato le Unità Operative da proporre quali Centri autorizzati alla prescrizione del farmaco eculizumab (Soliris - Registered);
- ritenuto opportuno sospendere la valutazione della scheda informativa del medesimo farmaco, in attesa di approfondimenti istruttori da parte di Azienda Zero-UOC Governo Clinico;

PRESO ATTO, infine, 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 circa la 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, quali Centri autorizzati alla prescrizione del farmaco eculizumab (Soliris - Registered), per la nuova indicazione terapeutica *“trattamento di bambini affetti da Miastenia gravis generalizzata (MGg) refrattaria a partire dai 6 anni di età positivi agli anticorpi anti-recettore dell'acetilcolina (AChR)”*, riferita

specificatamente all'età pediatrica (dai 6 ai 18 anni) - di cui alla Determina AIFA n. 649/2025 - le seguenti Unità Operative, già Centri di riferimento per le malattie rare, ai sensi della DGR n. 1460/2023:

Azienda ULSS/Ospedaliera/IRCCS	UO autorizzata (sede)
Azienda Ospedale Università di Padova	UOC Pediatria - Dipartimento Salute Donna e Bambino
Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata di Verona	UOC Neuropsichiatria Infantile

3. di confermare i Centri regionali autorizzati alla prescrizione del farmaco eculizumab (Soliris - Registered) per l'indicazione *"per trattamento di adulti affetti da Miastenia gravis generalizzata refrattaria (MGg) in pazienti positivi agli anticorpi anti recettore dell'acetilcolina (AChR)"*, specificatamente riferita ai pazienti adulti, individuati con Direttore Generale Area Sanità e Sociale n. 146 del 24 ottobre 2022, in premessa richiamato;
4. di dare atto che la prescrizione del farmaco eculizumab (Soliris - Registered) da parte dei Centri di cui al punto 2., deve avvenire attraverso la compilazione del Registro di monitoraggio AIFA, secondo le modalità dalla stessa definite nel proprio sito <https://registri.aifa.gov.it>, nonché attraverso la compilazione del Registro regionale per le Malattie Rare, per l'indicazione oggetto del presente atto, alla quale afferisce il codice di esenzione malattia rara *"RFG101 – Sindromi miasteniche congenite e disimmuni"*;
5. di incaricare il Coordinamento Malattie Rare della Regione del Veneto e Azienda Zero - UOC Governo Clinico della Regione del Veneto, dell'abilitazione dei suddetti Centri prescrittori all'uso dei rispettivi applicativi informatici e, contestualmente, di dare comunicazione di avvenuta abilitazione alla Segreteria della Commissione Tecnica Regionale Farmaci;
6. di incaricare la Direzione Farmaceutico-Protesica Dispositivi Medici:
 - della comunicazione del presente provvedimento, per il seguito di competenza, ad Azienda Zero, Aziende ULSS, Aziende Ospedaliere, IRCCS e alle Strutture private-accreditate della Regione del Veneto;
 - della pubblicazione nel sito ufficiale della Regione del Veneto e della trasmissione alle Commissioni Terapeutiche Aziendali e Sovraziendali (CTA/CTS) della scheda informativa del farmaco eculizumab (Soliris - Registered) per l'indicazione oggetto del presente provvedimento, non appena approvata da parte della CTRF a seguito della conclusione dell'iter istruttorio a carico di Azienda Zero - UOC Governo Clinico;
7. di ribadire che le CTA/CTS, ai sensi della DGR n. 1462/2023, dovranno diffondere - in collaborazione con le Farmacie Ospedaliere e i Servizi Farmaceutici Territoriali - e verificare l'applicazione delle informazioni e degli indirizzi prescrittivi elaborati dalla CTRF, riportati nella scheda informativa del farmaco di cui al precedente punto, non appena loro trasmessa;
8. di autorizzare le Aziende ULSS, le Aziende Ospedaliere e gli IRCCS della Regione del Veneto ad acquistare il farmaco eculizumab (Soliris - Registered), qualora se ne manifesti l'esigenza clinica;
9. di dare atto che il presente provvedimento non comporta spesa a carico del bilancio regionale;
10. di pubblicare il presente provvedimento in forma integrale nel Bollettino ufficiale della Regione.



F.to Massimo Annicchiarico

