



# REGIONE DEL VENETO

giunta regionale

DECRETO N. **111** DEL **09 AGO. 2022**

OGGETTO: Decreto del Direttore Generale Area Sanità e Sociale n. 88 del 9.9.2020 - Individuazione dei Centri regionali autorizzati alla prescrizione del farmaco metreleptina (Myalepta- Registered) indicato in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD): con diagnosi confermata di LD generalizzata congenita (sindrome di Berardinelli-Seip) o LD generalizzata acquisita (sindrome di Lawrence) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a due anni -. Integrazione dell'elenco dei centri e aggiornamento per nuove indicazioni terapeutiche del farmaco metreleptina (Myalepta- Registered).

NOTE PER LA TRASPARENZA:

si integra e si aggiorna il proprio decreto n. 88 del 9.9.2020 a seguito della determina AIFA n. 329 del 9.5.2022 che ha autorizzato la rimborsabilità per nuove indicazioni terapeutiche del farmaco metreleptina (Myalepta - Registered).

## IL DIRETTORE GENERALE AREA SANITÀ E SOCIALE

- VISTO il proprio decreto n. 88 del 9.9.2020 "Individuazione dei Centri regionali autorizzati alla prescrizione del farmaco metreleptina (Myalepta- Registered) indicato in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD): con diagnosi confermata di LD generalizzata congenita (sindrome di Berardinelli-Seip) o LD generalizzata acquisita (sindrome di Lawrence) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a due anni";
- ESAMINATA la proposta del Coordinamento Regionale per le Malattie Rare, valutata in sede di Commissione Tecnica Regionale Farmaci nella seduta del 21.7.2022, di autorizzare alla prescrizione del suddetto farmaco anche la UOC Malattie del metabolismo dell'Azienda Ospedale-Università Padova;
- VISTA la D.G.R. 14.5.2019, n. 614 «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» e succ. mod. e int.;
- VISTA la D.G.R. n. 763 del 14.5.2015 di recepimento dell'Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano sul documento "Piano nazionale per le malattie rare (PNMR)" e di aggiornamento della rete dei Centri Interregionali di Riferimento dell'area vasta, accreditati per le Malattie Rare;
- VISTA la D.G.R. n. 1522 del 25.9.2017 «Decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri del 12 gennaio 2017 "Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'art. 1, comma 7, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502" Attuazione dell'allegato 7 - "Elenco malattie rare esentate dalla partecipazione al costo"»;
- VISTA la determina AIFA n. 329 del 9.5.2022 (G.U. n. 119 del 9.5.2022) - *Regime di rimborsabilità e prezzo, a seguito di nuove indicazioni terapeutiche, del medicinale per uso umano «Myalepta»* - in

base alla quale tale farmaco, per la nuova indicazione terapeutica *in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD) 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*, è classificato come segue:

- ai fini della rimborsabilità a carico del Servizio sanitario nazionale in classe H e la prescrizione è soggetta a compilazione della scheda di prescrizione cartacea ospedaliera, allegata alla citata determina;
- ai fini della fornitura come medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o specialisti – endocrinologo e pediatra (RRL);

**VISTA** la legge regionale n. 19 del 25 ottobre 2016 - *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;*

**VISTO** il decreto Area Sanità e Sociale n. 84 del 7.7.2017 “Approvazione dell'atto aziendale dell'Azienda per il governo della sanità della Regione Veneto - Azienda Zero. D.G.R. n. 733 del 29 maggio 2017”, nella parte in cui tra le funzioni che l’Azienda Zero - U.O.C. HTA deve assicurare è indicato il “supporto alla funzione logistica mediante la valutazione ed il supporto nell’implementazione di sistemi informatizzati di prescrizione finalizzati a governare l’appropriatezza e la spesa”;

**PRESO ATTO** del parere del Coordinamento Regionale per le Malattie Rare (di cui alla D.G.R. n. 2169 del 8.8.2008) e dell’attività svolta a supporto della scelta di adozione del presente provvedimento dalla Commissione Tecnica Regionale Farmaci – di cui alla D.G.R. 21.1.2019, n. 36 - come da verbale del 21.7.2022;

#### DECRETA

1. di integrare l’elenco delle Unità Operative di cui al proprio decreto n. 88 del 9.9.2020 relativo ai Centri regionali autorizzati alla prescrizione del farmaco metreleptina (Myalepta – Registered) indicato *in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD): con diagnosi confermata di LD generalizzata congenita (sindrome di Berardinelli-Seip) o LD generalizzata acquisita (sindrome di Lawrence) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a due anni*, con la UOC Malattie del metabolismo dell’Azienda Ospedale-Università Padova;
2. di aggiornare il suddetto decreto n. 88 del 9.9.2020, autorizzando le Unità Operative di seguito riportate alla prescrizione del farmaco metreleptina (Myalepta – Registered) anche per la nuova indicazione terapeutica - *in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD) 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* - di cui alla determina AIFA n. 329 del 9.5.2022:

Azienda ULSS/Ospedaliera/IRCCS	U.O. autorizzate
Azienda Ospedale-Università Padova	UOC Clinica Pediatrica
	UOC Malattie Metaboliche Ereditarie
	UOC Clinica Medica III
	UOC Endocrinologia
	UOC Malattie del metabolismo
Azienda Ospedaliero Universitaria Integrata	UOC Pediatria (Malattie Metaboliche Ereditarie)

Verona	UOC Oncoematologia pediatrica
	UOC Endocrinologia, Diabetologia e Malattie del Metabolismo

3. di precisare che la prescrizione del farmaco, per le due indicazioni in oggetto, dovrà essere effettuata sulla base della scheda cartacea ospedaliera di cui all'**Allegato A**, parte integrante del presente atto, che sostituisce quello allegato alla citata determina AIFA n. 329 del 9.5.2022;
4. di ribadire che la prescrizione del farmaco in oggetto da parte dei Centri autorizzati per l'indicazione di cui al punto 1. è soggetta anche alla compilazione del Registro per le Malattie Rare istituito con D.G.R. n. 741/2000;
5. di dare atto che il presente provvedimento non comporta spesa a carico del bilancio regionale;
6. di comunicare il presente provvedimento per il seguito di competenza ad Azienda Zero, Aziende ULSS, Aziende Ospedaliere, IRCCS e alle Strutture private-accreditate della Regione del Veneto;
7. di pubblicare il presente provvedimento in forma integrale nel Bollettino Ufficiale della Regione.



Per il Direttore  
Il Vicario  
F.to Mauro Bonin







**Prescrizione MYALEPTA (metreleptina)**

Dosaggio\*: \_\_\_\_\_  mg/kg/die  mg/die

\*da RCP, par. 4.2

**Tabella 1.** Dose raccomandata di metreleptina

Peso al basale	Dose giornaliera iniziale (volume di iniezione)	Aggiustamenti della dose (volume di iniezione)	Dose massima giornaliera (volume di iniezione)
Maschi e femmine ≤ 40 kg	0,06 mg/kg (0,012 ml/kg)	0,02 mg/kg (0,004 ml/kg)	0,13 mg/kg (0,026 ml/kg)
Maschi > 40 kg	2,5 mg (0,5 ml)	da 1,25 mg (0,25 ml) a 2,5 mg (0,5 ml)	10 mg (2 ml)
Femmine > 40 kg	5 mg (1 ml)	da 1,25 mg (0,25 ml) a 2,5 mg (0,5 ml)	10 mg (2 ml)

In base alla risposta clinica (ad es. un controllo metabolico inadeguato) o ad altre considerazioni (ad es. problemi di tollerabilità; calo ponderale eccessivo, in particolare nei pazienti pediatrici), la dose può essere ridotta oppure aumentata fino alla dose massima riportata nella Tabella 1.

Specificare se si tratta di:

Prima prescrizione (durata 6 mesi)

Proseguimento di terapia

1° rinnovo (durata 6 mesi)

Dopo 1 anno di trattamento il paziente ha ottenuto un miglioramento clinico, definito da una riduzione dell'HbA1c ≥1.0% e/o dei trigliceridi a digiuno ≥30%.  Sì  No

Rinnovo successivo al 1°  durata 6 mesi  durata 12 mesi

**La prosecuzione a carico SSN dopo 1 anno di trattamento è consentita soltanto in caso di miglioramento clinico secondo la definizione sopra riportata.**

**NOTA BENE**

Il clinico deve prendere visione delle controindicazioni e precauzioni d'impiego riportate in RCP (cfr. par. 4.3-4.4-4.5-4.6-4.7). Si rimanda a RCP per posologia e modo di somministrazione (cfr. par. 4.2).

Confezioni di Myalepta prescritte (specificare dosaggio e numero di confezioni richiesto):

- Myalepta 3 mg polvere per soluzione iniettabile, 30 flaconcini                      numero confezioni \_\_\_\_\_
- Myalepta 5.8 mg polvere per soluzione iniettabile, 30 flaconcini                      numero confezioni \_\_\_\_\_
- Myalepta 11.3 mg polvere per soluzione iniettabile, 30 flaconcini                      numero confezioni \_\_\_\_\_

Data \_\_\_\_\_

Timbro e Firma del Medico specialista prescrittore

\_\_\_\_\_