



Giunta Regionale della Campania

Direzione Generale per la Tutela della Salute ed il
Coordinamento del Sistema Sanitario Regionale
UOD Politica del farmaco e dispositivi

Ai Direttori Generali
AA.SS.LL., AA.OO., AA.OO.UU
IRCCS Pascale

e per loro tramite

Ai Direttori Sanitari Aziendali
Ai Direttori Sanitari di Presidio Ospedaliero
Ai Responsabili Dipartimenti Farmaceutici ASL
Ai Responsabili Farmacie Ospedaliere

Al Direttore Generale SO.RE.SA S.p.A.

Al Referente Piani Terapeutici Soresa SpA
m.digennaro@soresa.it
piani.terapeutici@soresa.it

Al referente Flussi Informativi SORESA
flussifarmaceutici@soresa.it

Oggetto: Specialità medicinali Pombiliti (cipaglucosidasi alfa) ed Opfolda (miglustat)

L'Agenzia Italiana del Farmaco AIFA, con le Determine n.776/2024 e Determina n.777/2024 del 13/12/2024, pubblicate nella G.U. n. 298 del 20.12.2024, ha disposto la riclassificazione con regime di rimborsabilità SSN dei medicinali per uso umano rispettivamente **Pombiliti (cipaglucosidasi alfa) e Opfolda (miglustat)**, utilizzati nella **terapia di combinazione per il trattamento di adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α -glucosidasi acida [GAA])**.

- «**Pombiliti**» (cipaglucosidasi alfa) è una terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine usata in associazione allo stabilizzatore enzimatico miglustat per il trattamento di adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α -glucosidasi acida [GAA]).
- «**Opfolda**» (miglustat) è uno stabilizzatore enzimatico della cipaglucosidasi alfa per la terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α -glucosidasi acida [GAA]).

Il medicinale **Pombiliti» (cipaglucosidasi alfa)** , è classificato ai fini della rimborsabilità in classe H, nelle seguenti confezioni:

- «105 mg - polvere per concentrato per soluzione per infusione - uso endovenoso - 25 flaconcini - A.I.C. n. 050638030/E;
- «105 mg - polvere per concentrato per soluzione per infusione - uso endovenoso – 10 flaconcini - A.I.C. n. 050638028/E ;
- «105 mg - polvere per concentrato per soluzione per infusione - uso endovenoso - 1 flaconcino - A.I.C. n. 050638016 /E.

Il medicinale «**Opfolda**» (**miglustat**) è classificato ai fini della rimborsabilità in classe H, nelle seguenti confezioni:

- «65 mg - capsula rigida - uso orale – flacone 4 capsule – A.I.C. n. 050750013/E ,
- «65 mg - capsula rigida - uso orale - flacone 24 capsule – A.I.C. n. 050750025/E .

Ai fini della fornitura i medicinali «**Pombiliti**» (**cipaglucosidasi alfa**) e «**Opfolda**» (**miglustat**) sono soggetti a prescrizione medica (**RR**).

A seguito di valutazione da parte del Tavolo Tecnico Regionale Farmaceutico, di cui al D.P.G.R.C. n. 163/2021, nelle more dell'adozione di apposito provvedimento amministrativo di aggiornamento del PTR, sono autorizzati alla prescrizione dei medicinali **Pombiliti (cipaglucosidasi alfa)** e **Opfolda (miglustat)** nella indicazione: **trattamento di adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α -glucosidasi acida [GAA])** , i seguenti Presidi di riferimento regionale, ai sensi della DGRC n.1362/2005 e s.m.i., certificatori per la malattia rara “**malattia di Pompe (deficit di α -glucosidasi acida)**” afferente al gruppo **DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEI CARBOIDRATI - MALATTIE DEL METABOLISMO-** codice esenzione **RCG060** :

PRESIDI PDR CERTIFICATORI MALATTIA DI POMPE	
AZIENDA OSPEDALIERA	DIPARTIMENTO/UNITA' OPERATIVA
AOU S. GIOVANNI DI DIO E RUGGI D'ARAGONA, SALERNO	UOC Clinica Pediatrica
AOU UNIVERSITA' DEGLI STUDI DELLA CAMPANIA LUIGI VANVITELLI, NAPOLI	DAI Medicina Interna e Specialistica C.C. - U.O.C. 2 Neurologia
	DAI Medicina Interna e Specialistica C.C. - U.O.C. Endocrinologia
	DAI Medicina Interna e Specialistica C.S. - U.O.C. Cardiomiologia e Genetica Medica
AOU UNIVERSITA' DEGLI STUDI DI NAPOLI FEDERICO II, NAPOLI	"Programma Dipartimentale di I fascia Errori congeniti del metabolismo e del sistema immune", DAI Materno-Infantile
	DAI Testa Collo - U.O.C. di Neurologia e Centro per epilessia

I medicinali **Pombiliti (cipaglucoasidasi alfa)** e **Opfolda» (miglustat)** sono somministrati in ambiente ospedaliero. Flusso NSIS CO.

Ai fini della compensazione interaziendale i medicinali **Pombiliti (cipaglucoasidasi alfa)** e **Opfolda» (miglustat)** sono inseriti nel **FILE F** Canale **E/ AMB** se somministrati in regime ambulatoriale.

Può essere valutata l'idoneità alla infusione domiciliare, con erogazione diretta (FILE F Canale D).

Prima di optare per la somministrazione domiciliare, si raccomanda un periodo di monitoraggio intensivo di 6 mesi sulle reazioni associate all'infusione (IAR) da parte del somministratore dei centri prescrittori, in analogia a quanto espressamente previsto per le altre terapie enzimatiche sostitutive.

Come da Nota PG/2024/0503681 del 24/10/2024 "**Chiarimento del Percorso di abilitazione sulla piattaforma regionale SINFONIA**", le prescrizioni dovranno essere implementate sul sistema SINFONIA Piani Terapeutici. All'uopo, le SS.LL. in indirizzo sono invitate a trasmettere, utilizzando il tracciato record allegato, l'elenco dei centri prescrittori da autorizzare su Piattaforma Piani Terapeutici Farmaci Sinfonia al seguente indirizzo email: prontuarioterapeutico@regione.campania.it.

Solo in seguito all'attivazione dei Centri sarà possibile da parte dei Referenti Piani Terapeutici Farmaci Sinfonia abilitare i medici prescrittori afferenti al centro. Si ribadisce che la responsabilità della gestione e dell'aggiornamento dell'anagrafica Medici e Farmacisti rimane in capo alle Direzioni Sanitarie.

Referente: Dott.ssa Imma Mancini, tel. 081-7969788, e.mail: imma.mancini@regione.campania.it.

La funzionaria
Dott.ssa Imma Mancini

Il Dirigente Staff93/UO 06
Dr. Ugo Trama