REGIONE CAMPANIA U
COPIA
Protocollo N.0851245/2026 del 14/10/2026
Firmatario: IMMA MANCINI, francesca futura bernardi, UGO TRAMA

Giunta Regionale della Campania
Direzione Generale per la Tutela della Salute e
il Coordinamento del Sistema Sanitario Regionale

Settore Accreditamento Istituzionale Health
Technology Assessment (HTA) rapporti con il mercato
U.O.S Politiche del Farmaco e Dispositivi Medici - HTA

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/Territoriale
Ai Responsabili Dipartimenti farmaceutici ASL
Ai responsabili Farmacie Ospedaliere

e, p.c. Al Direttore Generale SO.RE.SA. S.p.A.
Al referente Flussi Informativi SORESA
flussifarmaceutici@soresa.it
Al Referente Piani Terapeutici Soresa SpA
piani.terapeutici@soresa.it
Al Coordinatore Gdl Piani Terapeutici
Dr.ssa M. Galdo

Oggetto: Determina AIFA Pres. n.1179/2026. Specialità medicinale KANUMA (sebelipasi alfa) nuova indicazione terapeutica e schemi posologici.

L'Agenzia Italiana del Farmaco AIFA, con la Determina Pres. n. 1179 del 12/08/2026, pubblicata sul portale "TrovaNormeFarmaco" (come da AVVISO pubblicato in G.U. n. 190 del 18.08.2026), ha disposto la rinegoziazione del medicinale **KANUMA (sebelipasi alfa)** per la seguente indicazione terapeutica:

- KANUMA è indicato per la terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti di tutte le età affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL).

Confezione

- "2 mg/ml concentrato per soluzione per infusione uso endovenoso flaconcino (vetro) 10 ml" 1 flaconcino AIC n. 044493017 (in base 10).

Classificazione ai fini della rimborsabilità **H;** medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri di riferimento indicati dalle regioni per la cura delle **malattie rare (RRL).**

Gli schemi posologici rimborsati del medicinale KANUMA (sebelipasi alfa) sono:

"Pazienti con deficit della LAL in rapida progressione che si manifesta nei primi 6 mesi di vita
La dose iniziale raccomandata nei neonati (età < 6 mesi) che presentano un deficit della LAL in rapida progressione è di 1 mg/kg o di 3 mg/kg, da somministrare mediante infusione endovenosa una volta alla settimana, in funzione dello stato clinico del paziente. Una dose iniziale superiore a 3 mg/kg deve essere considerata in base

alla severità e alla rapida progressione della malattia. Incrementi della dose devono essere valutati in funzione della risposta subottimale dei parametri clinici e biochimici, tra cui ad esempio crescita scarsa (specialmente della circonferenza del braccio, MUAC), peggioramento dei marcatori biochimici (p. es. transaminasi epatiche, ferritina, proteina C reattiva e parametri della coagulazione), organomegalia persistente o in peggioramento, aumento della frequenza di infezioni concomitanti e peggioramento persistente di altri sintomi (p. es. sintomi gastrointestinali): - in presenza di una risposta clinica subottimale, si deve valutare di aumentare la dose a 3 mg/kg - in presenza di una risposta clinica subottimale persistente, si deve valutare di aumentare ulteriormente la dose fino a 5 mg/kg. Ulteriori aggiustamenti della dose, come riduzioni della dose o estensione dell'intervallo di somministrazione, possono essere attuati su base individuale in funzione del raggiungimento e del mantenimento degli obiettivi terapeutici. Gli studi clinici hanno valutato dosi comprese tra 0,35 e 5 mg/kg una volta alla settimana.

Pazienti pediatrici e adulti con deficit della LAL

La dose raccomandata in bambini e adulti con deficit della LAL che non mostrano una progressione rapida prima dei 6 mesi di vita è di 1 mg/kg, da somministrare mediante infusione endovenosa a settimane alterne. Si deve valutare l'incremento graduale della dose a 3 mg/kg a settimane alterne in funzione della risposta subottimale dei parametri clinici e biochimici, tra cui ad esempio crescita scarsa persistente o peggioramento dei marcatori biochimici (p. es. parametri di lesione epatica (ALT, AST), parametri del metabolismo lipidico (TC, LDL-c, HDL-c, TG), organomegalia persistente o in peggioramento e peggioramento persistente di altri sintomi (p. es. sintomi gastrointestinali)."

È confermato il Registro dedicato al monitoraggio dell'uso del medicinale KANUMA, a base di sebelipasi alfa, per l'indicazione "*terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL) ad esordio precoce (entro il primo anno di vita) e a rapida progressione":* **Registro KANUMA - DEFICIT DI LIPASI ACIDA LISOSOMIALE.**

È istituito il Registro dedicato al monitoraggio dell'uso del medicinale KANUMA, a base di sebelipasi alfa, a seguito della revisione delle condizioni di ammissione alla rimborsabilità, per l'indicazione *KANUMA è indicato per la terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL) ad esordio in età pediatrica ed adulta:* **Registro KANUMA MAGGIORE DI 1 ANNO- DEFICIT DI LIPASI ACIDA LISOSOMIALE.**

Pertanto, a seguito di valutazione da parte della Commissione HTA di cui al D.P.G.R.C. n. 55/2026, nelle more dell'adozione dei conseguenti atti amministrativi, sono autorizzate alla prescrizione i seguenti Presidi di Riferimento per la malattia rara "**deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL)**", afferente al gruppo DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI nel capitolo MALATTIE DEL METABOLISMO - codice esenzione **RCG080**:

Codice RCG080 - DEFICIT DELLA LIPASI ACIDA LISOSOMIALE

Istituto di Ricovero Denominazione	UO
A.O.R.N. SANTOBONO-PAUSILIPON, Napoli	U.O.C. Pediatria delle Malattie Croniche, Epatologia e Nutrizione
A.O.U. S. Giovanni di Dio e Ruggi D'Aragona, Salerno	Cardiotoraco Vascolare - Cardiologia
	Scienze Mediche - Neurologia
	U.O.C. Clinica Pediatrica
A.O.U. Università degli Studi della Campania "Luigi Vanvitelli", Napoli	U.O.S.D. Genetica Medica e Cardiomiologia
	U.O.C. di Nefrologia
A.O.U. Federico II, Napoli	U.O.C. Endocrinologia
	U.O.C. Medicina Interna ed Emocoagulazione
	UOC Pediatria Generale e Pediatria Specialistica

Le prescrizioni di KANUMA relative a tutte le indicazioni rimborsate, sono implementate sul sistema SINFONIA Piani Terapeutici 2.0.

- "*Terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL) ad esordio precoce (entro il primo anno di vita) e a rapida progressione"*: ambito "Malattie rare" e sotto-ambito "Altri disordini del metabolismo dei lipoidi".
- *"Terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL) ad esordio in età pediatrica ed adulta.":* ambito "Malattie rare" e sotto-ambito "Disordini non specificati del metabolismo dei lipoidi."

Al fine di procedere all'anagrafica e alla successiva abilitazione dei Centri prescrittori sulla piattaforma SINFONIA – Piani Terapeutici 2.0 e su **piattaforma web Aifa Registri** le SS.LL. sono invitate a trasmettere, sia per il Centro riportato nella Tabella 1 sia per quelli afferenti alla nuova indicazione terapeutica, il template "Ricognizione centri prescrittori", disponibile all'indirizzo: https://www.regione.campania.it/regione/it/tematiche/ptr-prontuario-terapeutico-regionale/ptr prontuario-terapeutico-regionale debitamente compilato, ai seguenti indirizzi email sinfoniacentriprescrittori@soresa.it e alla pec accreditamento.hta@pec.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.
Si ricorda, altresì, che, nell'ambito del nuovo percorso prescrittivo attivo dal 01/12/2024, è obbligatoria la registrazione sulla piattaforma SINFONIA di tutte le prescrizioni, comprese quelle relative all'utilizzo interno (ricovero ordinario, regime ambulatoriale e Day Hospital), oltre a quelle destinate alla Distribuzione Diretta.

Il medicinale **KANUMA** è somministrato in ambiente ospedaliero. La somministrazione domiciliare è consentita nel rispetto dei criteri previsti dalla determina AIFA n. 341/2020 del 30 marzo 2020 "*Raccomandazioni a carattere eccezionale per la somministrazione domiciliare dei farmaci per terapia enzimatica sostitutiva – ERT*" e confermati dalla Determina AIFA n. DG/225/2023 del 9 maggio 2023: *"Si confermano le raccomandazioni per la somministrazione domiciliare dei farmaci per terapia enzimatica sostitutiva - ERT, come indicate nella determina AIFA n. 341/2020 del 30 marzo 2020, per i medicinali (omissis…) KANUMA (sebelipasi alfa), dando prosieguo delle somministrazioni delle stesse."*

Ai fini della compensazione interaziendale **KANUMA** è inserito nel **File F Canale E** se in regime **Amb.** In caso di somministrazione domiciliare **File F Canale D**.

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

La Funzionaria
Dott.ssa Imma Mancini

La Dirigente UOS
Dott.ssa Francesca Futura Bernardi

Il Dirigente del Settore
Dr. Ugo Trama

UOS - Politiche del Farmaco e dei dispositivi medici, HTA
Mail : farmaci.dispositivi@regione.campania.it
pec: accreditamento.hta@pec.regione.campania.it