



REGIONE
LAZIO

Direzione Regionale Salute e Integrazione Sociosanitaria
Area Farmaci e Dispositivi - GR/39/21

Prot. U. 03888-11/1.04.2025

Ai Direttori generali e
Commissari straordinari di:

- Aziende USL
- Aziende Ospedaliere
- Policlinici Universitari
- IRCCS
- Ospedali ex classificati

Oggetto: farmaco cipaglicosidasi alfa (POMBILITI® – Amicus Therapeutics) - polvere per concentrato per infusione uso endovenoso – in associazione allo stabilizzatore enzimatico miglustat (OPFOLDA® – Amicus Therapeutics) – cps - deficit di α -glucosidasi acida nei pazienti adulti (malattia di Pompe ad esordio tardivo - RCG 060) - servizio di terapia domiciliare

Con la Determina AIFA n. 776 del 20.12.2024, pubblicata sulla Gazzetta Ufficiale n. 298 del 20.12.2024, è stata autorizzata l'erogazione a carico del SSN del medicinale Pombiliti, polvere per concentrato per infusione uso endovenoso, confezioni da 1/10/25 flaconcini (Classe di Rimborsabilità H-AIC n.050638016/E, 050638028/E, 050638030/E), in associazione ad Opfolda, 65 mg 4 e 24 cps (Determina AIFA n. 777 del 20.12.2024, pubblicata sulla Gazzetta Ufficiale n. 298 del 20.12.2024) (Classe di Rimborsabilità H-AIC n. 050750013/E, 050750025/E) per la seguente indicazione terapeutica:

- Pombiliti è una terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine usata in associazione allo stabilizzatore enzimatico Opfolda per il trattamento di adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α -glucosidasi acida).

Il farmaco Pombiliti in associazione ad Opfolda, per l'indicazione soprariportata, è soggetto a prescrizione da parte degli specialisti afferenti ai centri regionali di riferimento per la malattia di Pompe:

1. Az. Osp. Sant'Andrea
2. Az. Osp. Pol. Tor Vergata
3. ASL Viterbo
4. Policlinico Umberto I
5. Policlinico A. Gemelli
6. Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

Per il farmaco Pombiliti in associazione ad Opfolda sarà disponibile un servizio di somministrazione domiciliare tramite il programma Domus dedicato ai pazienti affetti da malattia di Pompe.

Come riportato in RCP, l'infusione domiciliare di Pombiliti e Opfolda può essere presa in considerazione dal clinico per i pazienti che tollerano bene le infusioni e non presentano anamnesi IAR moderate o gravi per alcuni mesi.

Tale servizio di somministrazione domiciliare consente ai pazienti che hanno iniziato la terapia in ospedale di poter continuare a ricevere le somministrazioni nel pieno rispetto del piano terapeutico definito dal centro prescrittore al proprio domicilio.

Pertanto, in analogia ai servizi domiciliari già presenti, lo specialista del Centro, redatto il Piano Terapeutico, comunicherà alla ASL di residenza del paziente l'attivazione del servizio domiciliare.

Direzione Regionale Salute e Integrazione Sociosanitaria
Area Farmaci e Dispositivi - GR/39/21

Contatti programma Domus:

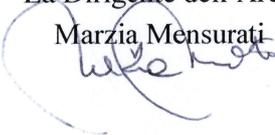
domus@phdlifescience.eu - tel. 0510955152

La somministrazione del farmaco è a carico del Centro prescrittore; nell'eventualità del passaggio ad infusione domiciliare l'erogazione sarà a carico della ASL di residenza.

Si precisa che anche per il farmaco Myozyme, come riportato in RCP, l'infusione domiciliare può essere presa in considerazione dal clinico per i pazienti che tollerano bene le infusioni e non presentano anamnesi IAR moderate o gravi per alcuni mesi, secondo il programma Tutor già in essere.

La Dirigente dell'Area

Marzia Mensurati



Il Direttore
Andrea Urbani



db