

Prot. n. 956778 del 26/07/2024



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

Ai Direttori generali e
Commissari straordinari di:

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

e, p.c., al Direttore generale dell'AIFA

Oggetto: farmaco omaveloxolone (SKYCLARYS® - Biogen Italia) – 90 cps 50 mg - atassia di Friedreich (FA) – L. 648/96

Con la Determina AIFA n. 186 del 05.07.2024, pubblicata sulla Gazzetta Ufficiale n. 160 del 10.07.2024, è stata autorizzata l'erogazione a carico del SSN, ai sensi della Legge 23 dicembre 1996 n. 648, del medicinale Skylarys (90 cps 50 mg, A.I.C. 700209568) per la seguente indicazione terapeutica:

- trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a sedici anni.

Il farmaco Skylarys, per l'indicazione soprariportata, è soggetto a prescrizione (nel rispetto delle condizioni riportate nell'Allegato 1 alla presente nota autorizzativa) da parte degli specialisti afferenti ai seguenti Centri autorizzati al trattamento dell'atassia di Friedreich (malattia rara RFG040):

1. Az. Osp. San Camillo-Forlanini
2. Az. Osp. Sant'Andrea
3. Policlinico Umberto I
4. Policlinico Gemelli
5. Policlinico Campus Biomedico
6. Ospedale Pediatrico Bambino Gesù
7. ASL Roma 1 – Osp. San Filippo Neri
8. ASL Latina – Osp. Santa Maria Goretti
9. ASL Viterbo – Osp. Belcolle

L'erogazione diretta del farmaco è a carico della Asl di residenza dell'assistito. Il farmaco Skylarys è inserito in File F a far data dal 01.08.2024.

Il Dirigente dell'Ufficio
Farmaci e DM Ospedalieri e HTA

Emilio Comberiatì

La Dirigente dell'Area

Marzia Mensurati

Il Direttore
Andrea Urbani

A.T. 19/07/2024

Allegato 1

Denominazione: SKYCLARYS (omaveloxolone).

Indicazione terapeutica: trattamento dell'ataxia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 16 anni.

Criteri di inclusione.

Età \geq 16 anni.

Diagnosi di ataxia di Friedreich confermata da test genetico.

Scala Friedreich's Ataxia Rating Scale (mFARS) $<$ 80.

Criteri di esclusione.

Compromissione epatica severa (Child-Pugh classe C).

Tasso di filtrazione glomerulare stimato (eGFR) $<$ 30 ml/min.

Scala New York Heart Association (NYHA) per lo scompenso cardiaco $>$ III.

Periodo di prescrizione a totale carico del Servizio sanitario nazionale: fino a nuova determina dell'Agenzia italiana del farmaco.

Piano terapeutico.

La dose raccomandata è 150 mg di omaveloxolone «Skyclarys» (3 capsule rigide da 50 mg ciascuna) una volta al giorno.

Per le modifiche della dose si rimanda al paragrafo 4.2 del riassunto delle caratteristiche del prodotto del medicinale «Skyclarys».

Per le avvertenze speciali e le precauzioni d'impiego, si rimanda al paragrafo 4.4 del riassunto delle caratteristiche del prodotto del medicinale «Skyclarys».

Durante l'assunzione del farmaco e fino a 4 settimane dopo la sua sospensione i pazienti in età fertile dovranno utilizzare un metodo di controllo delle nascite altamente efficace. Sono metodi di controllo delle nascite altamente efficaci quelli che garantiscono un tasso di fallimento inferiore all'1% in un anno.

Altre condizioni da osservare: le modalità previste dagli articoli 4, 5, 6 del provvedimento datato 20 luglio 2000 citato in premessa, in relazione a:

art. 4: istituzione del registro, rilevamento e trasmissione dei dati di monitoraggio clinico ed informazioni riguardo a sospensioni del trattamento (mediante apposita scheda come da provvedimento 31 gennaio 2001, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale n. 70 del 24 marzo 2001);

art. 5: acquisizione del consenso informato, modalità di prescrizione e di dispensazione del medicinale;

art. 6: rilevamento e trasmissione dei dati di spesa.

Parametri per il monitoraggio clinico:

prima dell'inizio del trattamento: emocromo con formula, AST, ALT, bilirubina, colesterolo totale, LDL e HDL, eGFR, BNP (o NT/proBNP);

una volta al mese per i primi 3 mesi, poi ogni 6 mesi: AST, ALT, bilirubina;

ogni 6 mesi: emocromo con formula, colesterolo totale, LDL, HDL, eGFR, BNP (o NT/proBNP).