



REGIONE  
LAZIO

DIREZIONE Regionale Salute e Integrazione Sociosanitaria  
Area Politica del farmaco

Pr. n. GR *284597* / 11/02

Roma *25.5.2015*

Ai Direttori Generali e  
Commissari straordinari di:

- Aziende USL
- Aziende Ospedaliere
- Policlinici Universitari
- IRCCS
- AIFA

Oggetto: Monitoraggio medicinale **Ivacaftor (KALIDECO®)**.

Con la determinazione AIFA del 30 aprile 2015 pubblicata in G.U. n. 101 del 4 maggio 2015, è stato definito il regime di rimborsabilità del medicinale per uso umano Ivacaftor (KALIDECO®) per la seguente indicazione terapeutica: "Trattamento della fibrosi cistica (FC), in pazienti di età pari o superiore a 6 anni che hanno una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R".

Secondo quanto previsto dalla determinazione del 30 aprile 2015, il medicinale è stato classificato ai fini della fornitura "Medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti – centri di cura Fibrosi Cistica ed erogazione tramite i centri stessi o le farmacie convenzionate (distribuzione diretta e per conto) (RRL)": centri che vengono di seguito indicati:

Struttura Sanitaria	Struttura Ospedaliera
Policlinico Umberto I	Policlinico Umberto I
Ospedale Pediatrico Bambino Gesù	Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

Si fa presente inoltre che sul portale AIFA, in data 30 aprile 2015, è stata pubblicata l'integrazione della scheda di monitoraggio Kalideco, in cui ci sono i questionari utili ai fini del calcolo del punteggio della sfera respiratoria: Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised (CFQ-R), distinti per fascia di età dei pazienti; tali questionari sono disponibili per la consultazione nella Lista aggiornata dei Registri di Monitoraggio.

I centri sopraindicati dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili e la scheda di follow-up, applicando le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito dell'Agenzia Italiana del Farmaco, piattaforma web all'indirizzo <https://www.agenziafarmaco.gov.it/registri/>.

Si fa presente inoltre che i criteri di eleggibilità e di raccolta dati ai fini della prescrizione e di proseguimento della terapia con Ivacaftor sono dettagliati nella scheda di monitoraggio e si riferiscono principalmente a:

• Presenza di mutazione di gating (di classe III) nel gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R.



REGIONE  
LAZIO

- Paziente sottoposto a trapianto d'organo.
- Body Mass Index (BMI in kg/m<sup>2</sup>).
- Test di sudore (cloruro nel sudore in mmol/l).
- Volume espiratorio forzato esalato nel primo secondo (FEV1).
- Numero delle esacerbazioni polmonari.
- Punteggio della sfera respiratoria del CFQ-R (Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised).
- Funzionalità pancreatica esocrina.
- Funzionalità renale.
- Funzionalità epatica.
- Uso concomitante di forti oppure moderati inibitori di CYP3A.

Il Responsabile dell'Area  
d.ssa Lorella Lombardozzi

Il Direttore  
Dot.ssa Flori Degrassi

Il responsabile del procedimento  
Dr. Marcello Giuliani  
06.5168.5738 e-mail [mggiuliani@regione.lazio.it](mailto:mggiuliani@regione.lazio.it)  
21 maggio 2015