

**Ufficio Carenze, Qualità dei prodotti e Contrasto al crimine farmaceutico****RETTIFICA DELLA DETERMINAZIONE AIFA UCQP n 287/2026****AUTORIZZAZIONE ALL'IMPORTAZIONE DEL MEDICINALE**

**“NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial” destinato al
mercato USA**

IL DIRIGENTE

Visti gli articoli 8 e 9 del D.Lgs. 30 luglio 1999, n. 300 e s.m.i.;

Visto l'art. 48 del D.L. 30 settembre 2003, n. 269, convertito nella Legge 24 novembre 2003, n. 326, con il quale è stata istituita l'Agenzia Italiana del Farmaco – di seguito “AIFA”;

Visto il D.Lgs. 30 marzo 2001, n. 165 e s.m.i.;

Visto il vigente regolamento di funzionamento e ordinamento del personale dell'Agenzia italiana del farmaco, adottato dal Consiglio di Amministrazione con deliberazione del 17 settembre 2025, n. 52, approvato, ai sensi dell'art. 22, commi 3 e 4, del decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245, dal Ministro della salute di concerto con il Ministro dell'economia e delle finanze e il Ministro per la pubblica amministrazione e pubblicato sul sito istituzionale dell'AIFA (comunicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 220 del 22 settembre 2025);

Visto il decreto del Ministro della salute 5 aprile 2024 con cui, a decorrere dalla data dello stesso, il prof. Robert Giovanni Nisticò è stato nominato Presidente del Consiglio di amministrazione dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'articolo 7 del citato decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245 e s.m.;

Vista la determinazione Dir.Tec.Sc. n. 92 del 24/12/2025, con la quale è stato conferito al Dott. Domenico Di Giorgio l'incarico di dirigente dell'Ufficio Carenze, Qualità dei prodotti e Contrasto al crimine farmaceutico dell'AIFA, con decorrenza dal 1° gennaio 2026;

Visto il R.D. 27 luglio 1934, n. 1265, recante *“Testo Unico delle leggi sanitarie”*;

Visto il D.M. 11 febbraio 1997, concernente le modalità di importazione di specialità registrate all'estero e s.m. i., fatto salvo dall'art. 158, comma 6, del D.L. vo 24 aprile 2006, n. 219 e s.m.i.;

Visto il D.M. 11 maggio 2001 riguardante la definizione di procedure da applicarsi in caso di temporanea carenza di specialità medicinali nel mercato nazionale;

Visto il D.Lgs. 24 aprile 2006, n. 219, pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana n. 142 del 21 giugno 2001, concernente l'attuazione della direttiva 2001/83/CE e successive modificazioni, relativa ad un codice comunitario concernente i medicinali per uso umano, nonché della direttiva 2003/94/CE;

Visto il D.M. 2 dicembre 2016, recante *“Disposizioni sull'importazione ed esportazione del sangue umano e dei suoi prodotti”* e s.m.i. (GU Serie Generale n.131 del 08-06-2018);

Vista la nota, in atti AIFA prot. n. 82235 del 23/06/2026, con la quale la SANOFI S.r.l. ha comunicato, in ottemperanza all'art. 2 del D.M. 11/05/2001, il possibile stato di carenza sul mercato nazionale del medicinale *“NEXVIADYME (avalglucosidasi alfa) 100 mg - polvere per concentrato per soluzione per infusione - uso endovenoso - flaconcino (vetro) -1 flaconcino”* AIC n. 050184011, e il successivo aggiornamento in atti AIFA prot. n. 104509 - 30/07/2026;

Accertato il rischio dello stato di carenza del predetto medicinale nel normale circuito distributivo a livello nazionale;

Vista l'istanza presentata dalla SANOFI S.r.l., in atti AIFA prot. n. 111224 del 25/08/2026, con la quale è stata richiesta all' UCPQ l'autorizzazione all'importazione del medicinale *“NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial”* destinato al mercato USA, in confezionamento e lingua inglese, al fine di consentire l'approvvigionamento agli Assessorati alla Sanità;

Vista la rettifica, in atti AIFA prot. n. 111525 del 26/08/2026, all'istanza presentata dalla SANOFI S.r.l. con la quale è stata richiesta all' UCPQ l'autorizzazione all'importazione del medicinale *“NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial”* destinato al mercato USA, in confezionamento e lingua inglese, al fine di consentire l'approvvigionamento agli Assessorati alla Sanità;

Viste le integrazioni inviate dalla SANOFI S.r.l., in atti AIFA prot. n. 111440 del 26/08/2026 e prot. n. 111849 del 27/08/2026;

Acquisita la dichiarazione di identità attestante che il medicinale *“NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial”* destinato al mercato USA, in confezionamento e lingua inglese, è identico al medicinale autorizzato in Italia con n. A.I.C.

050184011 per **forma farmaceutica, dosaggio, composizione quali-quantitativa, contenuto della confezione e via di somministrazione;**

Preso atto che il medicinale “NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial” destinato al mercato USA presenta, rispetto al medicinale autorizzato in Italia con n. A.I.C. 050184011, **differenze relativamente alle indicazioni terapeutiche e alla popolazione eleggibile al trattamento, alla posologia e alle modalità di conservazione**, come riportato nella Nota Informativa che sarà distribuita a ciascuna struttura ricevente il medicinale;

Considerato che il medicinale NEXVIAZYME® destinato al mercato USA è autorizzato nel Paese di origine esclusivamente per il trattamento di pazienti di età pari o superiore a 1 anno affetti da malattia di Pompe a esordio tardivo (Late-Onset Pompe Disease, LOPD), mentre NEXVIADYME® autorizzato in Italia e nell’Unione Europea è indicato per la terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine nei pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe;

Visto il parere favorevole espresso dalla Commissione Scientifica ed Economica del Farmaco (CSE) nella seduta del 07/09/2026, in merito alla possibilità di consentire, in via temporanea e limitatamente alla durata della carenza e dell’autorizzazione all’importazione, l’utilizzo del medicinale NEXVIAZYME® destinato al mercato statunitense anche nei pazienti con malattia di Pompe a esordio infantile (Infantile-Onset Pompe Disease, IOPD), secondo l’indicazione terapeutica e la posologia autorizzate per NEXVIADYME® in Italia e nell’Unione Europea;

Ritenuto pertanto necessario modificare le condizioni di utilizzo del medicinale importato previste dalla Determinazione AIFA UCQP n. 287/2026 del 28/08/2026 al fine di recepire il predetto parere della CSE;

Viste anche le precedenti determinazioni del 07/07/2026, e successiva rettifica del 09/07/2026, del 17/07/2026 e del 22/07/2026;

adotta la seguente

DETERMINAZIONE

la SANOFI S.r.l. è autorizzata a importare il medicinale destinato al mercato USA:

• **NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial”**

n. 3000 confezioni del Lotto n. GW2458 (scadenza 31.01.2030), in confezionamento e lingua inglese.

Prodotto da: Genzyme Corporation - 8 New York Avenue Framingham, MA 01701 USA - FEI Number: 1220423/DUNS Number: 117450412 (produzione sostanza attiva)

Genzyme Ireland Ltd - DA Industrial Park, Old Kilmeaden Road, Waterford X91 TP27, Ireland (produzione prodotto finito).

Rilasciato da: Genzyme Ireland Ltd - DA Industrial Park, Old Kilmeaden Road, Waterford X91 TP27, Ireland.

La SANOFI S.r.l. dovrà far pervenire almeno un foglietto illustrativo in lingua italiana e una copia della Nota informativa concordata con lo scrivente Ufficio a ciascuna struttura ricevente il farmaco.

In conformità al parere favorevole espresso dalla Commissione Scientifica ed Economica del Farmaco (CSE), limitatamente alla durata della carenza del medicinale NEXVIADYME® e alla validità della presente autorizzazione all'importazione, il medicinale NEXVIAZYME® destinato al mercato statunitense potrà essere utilizzato secondo l'indicazione terapeutica e la posologia autorizzate per NEXVIADYME® in Italia e nell'Unione Europea, ivi compreso il trattamento dei pazienti con malattia di Pompe a esordio infantile (Infantile-Onset Pompe Disease, IOPD).

Per le indicazioni terapeutiche e la posologia, i medici dovranno fare riferimento alle informazioni autorizzate per NEXVIADYME® in Italia e nell'Unione Europea. Per le istruzioni relative alla ricostituzione e alla somministrazione e per le ulteriori informazioni relative al medicinale importato, dovrà essere fatto riferimento al foglietto illustrativo in lingua inglese presente in ciascuna confezione e alla relativa traduzione in lingua italiana fornita da SANOFI S.r.l. a ciascuna struttura.

Il medicinale del quale si autorizza l'importazione deve:

- essere preparato in conformità a quanto previsto dalla Farmacopea Europea, presso la sopra menzionata officina, regolarmente autorizzata alla produzione secondo le Norme di Buona Fabbricazione (GMP)
- essere fornito alle strutture sanitarie e ospedaliere richiedenti, senza apportare modifiche al prezzo di vendita applicato in Italia al medicinale "NEXVIADYME (avalglucosidasi alfa) 100 mg - polvere per concentrato per soluzione per infusione - uso endovenoso - flaconcino (vetro) - 1 flaconcino" (AIC n. 050184011) e mantenendo inalterate le eventuali condizioni negoziali
- essere distribuito nel rispetto delle Norme di Buona Distribuzione dei medicinali (GDP).

Il medicinale potrà essere depositato in Italia, unicamente presso il magazzino di seguito indicato:

- DHL Supply Chain S.p.A., Via delle Industrie, 2 – 20049 Settala (MI);

- DHL Supply Chain S.p.A., Via Ardeatina 2479 – 00134 Zona Industriale di Santa Palomba-tor del Vescovo (Roma).

L'autorizzazione alla distribuzione viene rilasciata a condizione che siano soddisfatti i requisiti di qualità, sicurezza ed efficacia analoghi a quelli dei medicinali registrati in Italia.

Ai sensi dell'art. 5 del D.M. 11 maggio 2001, agli Assessorati alla Sanità presso le Regioni e le Province Autonome è consentita, fino a diverse indicazioni al riguardo, "temporanea autorizzazione" ad acquistare, per il tramite delle Strutture Sanitarie e dei Servizi di Farmacia Territoriale che ne necessitano, il medicinale "NEXVIAZYME® (avalglucosidase alfa-ngpt) - for injection – 100 mg per vial" destinato al mercato USA in confezionamento e lingua inglese, importato dalla SANOFI S.r.l., allo scopo di assicurare la continuità dei programmi di trattamento a beneficio dei propri pazienti.

Ai fini del monitoraggio della distribuzione del medicinale:

- la SANOFI S.r.l. è tenuta a comunicare, allo scrivente ufficio: farmacicarenti@aifa.gov.it, la data in cui prodotto importato risulterà disponibile presso il proprio/i propri magazzini e pronto alla distribuzione;
- la SANOFI S.r.l. è tenuta a trasmettere ad AIFA, in formato Excel, i dati riepilogativi (numero di confezioni importate, numero di confezioni distribuite e loro destinazione, numero di confezioni residue, specificandone la destinazione qualora i termini dell'autorizzazione alla distribuzione delle stesse siano scaduti) delle confezioni del medicinale fornite al 30 giugno e al 31 dicembre, salvo nel caso in cui le confezioni importate si esauriscano prima di tali date, in tal caso, i dati riepilogativi dovranno essere trasmessi appena le scorte importate in base alla presente determinazione saranno esaurite.

La presente autorizzazione all'importazione ha validità di mesi SEI (6), rinnovabili, e potrà essere revocata in qualsiasi momento per motivazioni, circostanze e fattori diversi dagli attuali, che potrebbero determinarsi per variazioni dello stato di carenza o che potrebbero risultare in contrasto con gli interessi della collettività e la tutela della salute pubblica.

Roma **09/09/2026**

Il Dirigente

Domenico Di Giorgio