

FROMCeO LOMBARDIA Federazione  
Regionale degli Ordini dei Medici Chirurghi  
e degli Odontoiatri della Lombardia  
Via Massenzio Masia 30  
22100 COMO (CO)  
Email: presidenza.co@pec.omceo.it

Federazione Ordini dei Farmacisti della  
Lombardia  
Viale Piceno, 18  
20129 MILANO (MI)  
Email: ordinefarmacistimilomb@pec.fofi.it

FEDERFARMA LOMBARDIA  
Viale Piceno, 18  
20129 MILANO (MILANO)  
Email: lombardia@pec.federfarma.it

ASSOFARM LOMBARDIA C/O  
CONSERVIZI MILANO  
Palazzo Q7 - Strada 4  
20129 ROZZANO (Milano)  
Email: segreteria@confservizilombardia.it

FARMACIE UNITE  
Email: farmacieunite@pec.farmacieunite.it

AI DIRETTORI GENERALI ASST  
AI DIRETTORI GENERALI ATS  
AI DIRETTORI GENERALI DEGLI IRCCS  
DI DIRITTO PUBBLICO  
AI LEGALI RAPPRESENTANTI DEGLI  
IRCCS DI DIRITTO PRIVATO  
AI LEGALI RAPPRESENTANTI DELLE  
STRUTTURE PRIVATE ACCREDITATE  
AI SERVIZI FARMACEUTICI ATS

AI SERVIZI FARMACEUTICI ASST, IRCCS  
E STRUTTURE PRIVATE ACCREDITATE

e, p.c.

AIFA DIREZIONE GENERALE  
Via del Tritone, 181  
187 ROMA ()  
Email: protocollo@pec.aifa.gov.it

CENTRO COORDINAMENTO RETE  
MALATTIE RARE - ISTITUTO MARIO  
NEGRI

Via Camozzi, 3  
24020 RANICA ()  
Email: raredis@marionegri.it

Aria - Azienda Regionale per l'Innovazione  
e gli Acquisti SPA  
Via Taramelli, 26  
20154 Milano (MI)  
Email: protocollo@pec.ariaspa.it

**Oggetto: Medicinale ROCTAVIAN (valoctocogene roxaparvovec) –Terapia genica emofilia A e indicazioni regionali**

Si invia in allegato la Determina AIFA (Determina n. 9/2024) pubblicata nella GU n. 17 del 22/01/2024 che ha disposto che a partire dal 23/01/2024 è possibile utilizzare, in regime di rimborsabilità SSN, il medicinale ROCTAVIAN per la seguente indicazione terapeutica:

- trattamento dell'emofilia A grave (deficit congenito di fattore VIII) in pazienti adulti senza anamnesi di inibitori del fattore VIII e senza anticorpi rilevabili anti-virus adeno-associato del sierotipo 5 (AAV5).

Si tratta della prima terapia genica per l'emofilia A: Valoctocogene roxaparvovec è un medicinale di terapia genica che esprime la forma SQ con delezione del dominio B del fattore di coagulazione umano VIII (hFVIII-SQ). È un vettore basato sul virus adeno-associato di sierotipo AAV5 ricombinante non replicante, contenente il cDNA del gene della forma SQ con delezione del dominio B del fattore di coagulazione umano VIII sotto il controllo di un promotore epato-specifico.

Nell'EPAR di Ema è così disposto:

“La terapia deve essere iniziata con la supervisione di un medico esperto nel trattamento dell'emofilia. Questo medicinale deve essere somministrato in un contesto in cui siano immediatamente disponibili personale e apparecchiature per il trattamento delle reazioni correlate all'infusione (vedere paragrafi 4.4 e 4.8). ROCTAVIAN deve essere somministrato solo a pazienti nei quali sia stata dimostrata l'assenza di anticorpi anti-AAV5 utilizzando un test convalidato”.

Si identifica come centro prescrittore e infusore del SSN autorizzato il CENTRO HUB PER MALATTIE EMORRAGICHE CONGENITE (MEC): Fondazione IRCCS Cà Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano.

Di seguito si indicano i criteri dell' EAHAD (Boban A, Baghaei :, Fijnvandraat K et al. Accreditation model of European Haemophilia Centres in the era of novel treatments and gene therapy. Haemophilia. Oct 2023. doi: 10.1111/hae.14887) utilizzati per l'identificazione del centro HUB :

### **Criteri per un centro hub di terapia genica per l'emofilia**

- Avere esperienza acquisita in precedenti studi di TG o specialisti che possono fornire competenze tempestive in TG o disponibilità di mentorship
- Farmacia interna per ordinare, conservare e preparare il farmaco per la somministrazione della TG
- Somministrazione di consenso informato/processo decisionale condiviso
- Personale formato per la somministrazione della TG
- Capacità di eseguire test diagnostici per il programma di TG e follow-up dei pazienti
- Stretta collaborazione con altri HCCC e HTC
- Conoscenze per poter porre diagnosi tempestiva degli eventi avversi nella TG e loro gestione
- Stretta collaborazione con epatologi e immunologi per risolvere eventuali complicanze epatologiche
- Protocolli sulle diverse strategie per l'immunosoppressione
- Raccolta e valutazione longitudinale dei dati in terapia genica (registri nazionali e/o internazionali)
- Reparto con possibilità di ricovero con l'ausilio di specialisti adeguati nel caso di complicanze
- Rispondere ai criteri di un centro Spoke

Per facilitare il percorso del paziente e garantire l'assistenza successiva in prossimità del suo contesto sociale, ai centri spoke PER MALATTIE EMORRAGICHE CONGENITE (MEC) verrà affidato il compito di seguire la fase post trattamento genico, coordinandosi con il centro HUB. Le prescrizioni relative unicamente alla indicazione rimborsata dal Servizio Sanitario Nazionale, dovranno essere effettuate in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella scheda clinica di cui al Registro di Monitoraggio AIFA.

Il farmaco è rendicontabile in File F – Tipologia CO –campo prestazione “Ricov”.

Distinti Saluti

Il Dirigente  
IDA FORTINO

Determina AIFA Roctavia.pdf

**Referente per l'istruttoria della pratica:** IDA FORTINO Tel. 02/6765.