

Egr. Dott. Mario Melazzini
Presidente Agenzia
Italiana del Farmaco

Roma, 13 luglio 2016

Prot. n. 32 /2016

Oggetto: Istanze FAVO

innanzitutto, a nome del Direttivo di FAVO e mio personale, desidero ringraziarTi per l'amichevole accoglienza riservata in occasione del nostro incontro del 6 luglio e per la generosa disponibilità a interloquire attivamente con la Federazione italiana delle Associazioni di Volontariato in Oncologia (FAVO). Come da accordi intercorsi, con la presente ti riassumo brevemente le istanze del volontariato oncologico, già oggetto della nostra approfondita discussione:

- **prescrivibilità degli interferoni peghilati per il trattamento della trombocitemia essenziale (e policitemia vera, altra neoplasia mieloproliferativa** cronica non menzionata dalla legge 648/96): Richieste inoltrate da FAVO ad AIFA il 25-2-16 e 2-3-16 e le rispettive risposte di AIFA in data 2-3-16 e 12-4-16 (Allegati n. 1-2-3-4)
Si chiede di conoscere l'esito dell'approfondimento in corso da parte della CTS in merito alla già discussa dall'Ufficio competente nella seduta del 16 marzo del Segretariato di Supporto e Coordinamento dell'Ufficio Ricerca e Sperimentazione Clinica.
- **modifica delle note 74 e 51 attraverso gli strumenti consentiti dalla legge 648/96** per riconoscere l'indicazione "prevenzione dell'infertilità nelle pazienti oncologiche" alle gonadotropine necessarie alla stimolazione e raccolta ovocitaria e agli analoghi LHRH che proteggono la funzione ovarica durante chemioterapia. A tale richiesta - già avanzata ad AIFA da parte di FAVO in occasione dell'OPENAIFA del 14 febbraio 2014, veniva risposto che "*Sul punto relativo alle note i presenti comunicano di essere a conoscenza del fatto che è stato attivato un Tavolo che ha come obiettivo quello di occuparsi di tali problematiche*" (Allegato n. 5). Si ritiene opportuno allegare la corrispondenza intercorsa tra il Dott. Peccatori e FAVO e tra il Dott. Peccatori e la CTS di AIFA (allegato n. 6). Con particolare riguardo a quest'ultima, Peccatori risponde a una lettera del 2/2/2015 che comunicava parere negativo del CTS di AIFA del 19-20-21 gennaio 2015 in relazione alla richiesta di inserimento di Triptorelina e Goserelina nell'elenco ai sensi della legge 648/96 per la preservazione della funzione ovarica in corso di trattamento chemioterapico. Tale giudizio, come anche suggerito dalla audizione fatta da AIFA al CSS, era subordinato alla pubblicazione di ulteriori evidenze e informazioni relative alla efficacia del trattamento in corso di chemioterapia. In risposta a tale richiesta, Peccatori ha allegato il lavoro pubblicato sulla rivista NEJM il 4 marzo 2015 sul numero 372 pgg 923-932 dal titolo "Goserelin as Ovarian Protection during Breast Cancer Adjuvant Chemotherapy" di Moore HCF et al. Il lavoro riporta una riduzione del 14% del rischio di amenorrea nel gruppo di pazienti che ha ricevuto Goserelin in concomitanza alla chemioterapia somministrata per un tumore mammario non endocrinoresponsivo, rispetto alle pazienti trattate con la sola chemioterapia. I risultati sono analoghi al lavoro pubblicato da Del Mastro et al (-17%) nel 2011 su JAMA relativo a 281 pazienti. La numerosità del campione dello studio di Moore (257 pazienti), la metodologia applicata, l'autorevolezza della rivista rendono questi risultati "practice changing" e si ribadisce pertanto la richiesta di inserimento

di Triptorelina e Goserelina nell'elenco ai sensi della legge 648/96 per la preservazione della funzione ovarica in corso di trattamento chemioterapico, anche in considerazione del costo complessivo annuo per il SSN di 77.000 euro.

- **L'accesso all'uso compassionevole dei farmaci oncologici** rappresenta un salvavita per i malati affetti da tumori rari. Anche questa richiesta era stata avanzata ad AIFA in occasione dell'OPENAIFA del 14 febbraio 2014 il cui verbale recita come segue: *"FAVO prende atto con soddisfazione di quanto affermato dal Prof. Pani relativamente all'affermazione di essere a conoscenza del fatto che la nuova versione del decreto è ormai in fase di ultimazione e quasi pronta per essere inviata all'Ufficio legislativo del Ministero della Salute"*. Si fa presente che la Segreteria Tecnica della Direzione Generale dell'AIFA, esaminato il verbale, ha ritenuto che il contenuto dello stesso riporti l'esito dell'incontro Open-AIFA.

L'accesso per i malati all'uso compassionevole dei farmaci attraverso l'aggiornamento del decreto ministeriale 8 maggio 2003 è stato anche oggetto di 5 mozioni parlamentari (della prima mozione la prima firmataria è l'On Binetti - Mozione 1-01063 presentata il 12 novembre 2015, nella seduta n. 520 e approvata all'unanimità dalla Camera dei Deputati), che impegnano tra l'altro il Governo su temi cruciali tra cui *"l'accesso per i malati all'uso compassionevole dei farmaci attraverso l'aggiornamento del decreto ministeriale 8 maggio 2003 («Uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica» e «a verificare che in tutti i tavoli di lavoro in cui si trattano i tumori rari siano presenti i rappresentanti delle associazioni di malati che hanno raggiunto livelli di esperienza e di competenza di riconosciuto valore» (Allegato n. 7)*

Lo scorso 21 giugno, l'On. Binetti ha presentato un'interrogazione parlamentare al Ministro della Salute (allegato n. 8) in cui si chiede:

- 1) *Che sia rapidamente elaborato e pubblicato il nuovo testo normativo sull'uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica;*
- 2) *che si tenga in considerazione in modo particolare, sempre per l'uso compassionevole, il problema delle combinazioni tra farmaci non ancora registrati e farmaci già in commercio;*

Alla risposta di De Filippo (pag 10 e 11 allegato n. 9) *"La normativa vigente, che regola l'accesso ai farmaci non autorizzati, pone come ostacolo maggiore per i pazienti con tumori rari il requisito di studi clinici completi di Fase II, in considerazione delle difficoltà oggettive nel condurre la ricerca clinica in tale ambito, ma che sono finalizzate, altresì, a garantire la massima sicurezza nell'uso del farmaco sperimentale sul paziente"* e *"Per studiare le problematiche relative a questi aspetti, presso il Ministero della salute è stato istituito da tempo il gruppo tecnico di lavoro per lo studio delle problematiche relative alla cura dei tumori rari (Gruppo di lavoro tumori rari, Rete nazionale tumori rari) tra i cui obiettivi tra l'altro vi è proprio quello finalizzato ad elaborare proposte per aumentare l'accesso ai farmaci nel trattamento dei tumori rari"*, l'On Binetti ha risposto: *"Mi sembra che molte delle conclusioni a cui il gruppo di lavoro sui tumori rari, presente presso il Ministero della salute, è arrivato potrebbero contenere elementi di convergenza per risolvere questi problemi. Ma certamente il passaggio dall'elaborazione concettuale di tutto questo all'applicazione concreta e reale, che significa per i malati la disponibilità reale dei farmaci, mi sembra che ancora rappresenti un nodo da sciogliere. Il livello della mia soddisfazione non è evidentemente nei confronti della risposta, che di per sé può anche essere soddisfacente, ma la soddisfazione del paziente scaturisce nel momento in cui il farmaco, di cui ha bisogno, è disponibile. Riguardo ai rilievi che il sottosegretario ha fatto con molta precisione e molta puntualità, compresa la rapidità, noi abbiamo una legge del 2013, la famosa legge dei cento giorni, che però è tutt'altro che applicata. Non abbiamo bisogno di uno strumento*

normativo, non abbiamo bisogno di definire i principi, abbiamo semplicemente necessità che, per esempio, nel caso specifico, l'AIFA si faccia carico di questo e, come previsto dalla norma, in cento giorni approvi questa cosa".

- **Attivazione del Tavolo permanente di monitoraggio dei Prontuari Terapeutici Ospedalieri** (ex legge 189 - 2012 - art. 10 comma 6 *"Presso l'AIFA, e' istituito, senza nuovi oneri a carico della finanza pubblica, un tavolo permanente di monitoraggio dei prontuari terapeutici ospedalieri, al quale partecipano rappresentanti della stessa Agenzia, delle regioni e delle province autonome di Trento e di Bolzano e del Ministero della salute. Il tavolo discute eventuali criticità nella gestione dei prontuari terapeutici ospedalieri e degli altri analoghi strumenti regionali e fornisce linee guida per l'armonizzazione e l'aggiornamento degli stessi (anche attraverso audizioni periodiche delle organizzazioni civiche di tutela del diritto alla salute maggiormente rappresentative a livello nazionale".*
Nello medesimo OPENAIFA, FAVO chiese ad AIFA di procedere con immediatezza all'attivazione di tale Tavolo stabilendo forme e modi del coinvolgimento delle associazioni dei malati come previsto dalla legge. In tale occasione (febbraio 2014): *"il Prof. Pani fece presente che era in fase di definizione con le Regioni l'attivazione del Tavolo summenzionato".*

A disposizione per ogni eventuale chiarimento, rimango in attesa di un cortese cenno di riscontro e Ti invio i miei più cordiali saluti e ringraziamenti.

Prof. Francesco De Lorenzo
Presidente FAVO