

## **Comunicato del Comitato Scientifico di AISAC relativo al Vosoritide (farmaco di BioMarin) attualmente in valutazione alla messa in commercio da parte di EMA (European Medicines Agency).**

Da diversi mesi – con il progetto Farmac-ON (informati e consapevoli sulle terapie farmacologiche) - AISAC sta lavorando con gruppi di famiglie, un'equipe di operatori e il proprio Comitato Scientifico per preparare la comunità (pazienti, famiglie, operatori, medici) all'arrivo della terapia farmacologica in modo che non solo le famiglie e i pazienti possano essere informati, ma che ci sia un coordinamento a livello dei Centri e degli operatori.

Di seguito un primo comunicato del Comitato Scientifico sulla situazione attuale.

### **LA SITUAZIONE ATTUALE (2/2021):**

Ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n.648 nel mese di dicembre 2020 è stato redatto un documento per richiedere l'inserimento del medicinale vosoritide nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale sottolineando la necessità di una possibilità di utilizzo in tempi rapidi per intervenire al più presto in modo da migliorare la crescita staturale, limitando la perdita di autonomia funzionale.

I tempi di risposta di questa richiesta non sono prevedibili, ma è auspicabile una possibilità di accesso al farmaco compresa tra fine 2021 a inizio 2022 se la richiesta venisse accolta.

Se AIFA non accoglierà questa richiesta si potrà prevedere un'approvazione e un inizio di utilizzo nel corso del 2022 (sottolineiamo che anche questa tempistica è una stima e non è prevedibile ad oggi).

### **A CHI POTRÀ ESSERE PRESCRITTO:**

A seguito dei risultati raccolti nello studio di fase 3 del settembre 2020, pubblicato sulla rivista Lancet, vosoritide è stato approvato, al momento, per i soggetti acondroplatici di età compresa tra i 5 e i 18 anni.

Vosoritide non è stato ancora approvato per l'utilizzo nella fascia di età 0-5 anni, ma sono in corso studi sperimentali per l'approvazione anche in questa fascia anagrafica.

Nella pratica di utilizzo del vosoritide sarà da considerare che se un soggetto di età inferiore ai 18 anni avesse già raggiunto la statura definitiva, senza più margine di accrescimento, lo stesso soggetto non presenterà un obiettivo miglioramento della crescita staturale con l'utilizzo del farmaco.

### **I RISULTATI DI VOSORITIDE**

Ad oggi i risultati degli studi clinici ci dicono che vosoritide determina un guadagno accrescitivo staturale quantificato in un aumento medio della velocità di crescita staturale nel soggetto con acondroplasia trattato di 1,57 cm/anno, rispetto al soggetto acondroplastico non trattato con vosoritide. L'utilizzo del vosoritide non ha, al momento, dimostrato di modificare altre comorbidità (1) della condizione.

---

<sup>1</sup> La comorbilità o comorbidità in ambito sanitario indica la coesistenza di più patologie diverse in uno stesso individuo. Il termine può riferirsi a due o più patologie che coesistono simultaneamente ma indipendentemente l'una dall'altra oppure riferirsi a patologie che compaiono secondariamente all'insorgenza di una patologia di fondo.



L'UOMO È LA MISURA DI TUTTE LE COSE.

### COME VIENE SOMMINISTRATO

La terapia richiede una somministrazione giornaliera del farmaco attraverso un'iniezione sottocutanea ed è gestibile al domicilio, previa accurata formazione da parte dei centri di riferimento dei genitori e/o dei ragazzi, in base alle autonomie individuali dei singoli.

### DOVE VIENE DISTRIBUITO

Tutti i centri regionali accreditati (2) nella rete malattie rare potranno somministrare il farmaco.

### VOSORITIDE ALTRI FARMACI O INTERVENTI

L'assunzione di vosoritide dovrà essere comunicata in caso si partecipi o si decida di partecipare a studi clinici sperimentali sia limitati all'osservazione clinica sia associati alla sperimentazione di nuovi farmaci in studio per la cura dell'acondroplasia o di comorbidità associate. E' altamente probabile che l'assunzione del farmaco possa rappresentare un criterio di esclusione all'inclusione del paziente in eventuali trial. La coorte di pazienti studiata non ha previsto né l'associazione con altri farmaci specifici per Acondroplasia (ad oggi inesistenti) né l'inserimento di pazienti che stavano eseguendo percorsi ortopedici quali l'allungamento degli arti inferiori o superiori. Pertanto ad oggi non vi sono informazioni relative alla somministrazione di vosoritide in questi contesti clinici.

### SICUREZZA E EFFETTI COLLATERALI

Relativamente alla sicurezza e agli effetti collaterali, gli studi pubblicati ci dicono che il farmaco presenta un profilo di sicurezza e tollerabilità favorevole, che supporta una valutazione positiva del rapporto beneficio-rischio; inoltre, la maggior parte degli eventi avversi sono di grado lieve.

Milano 4 Febbraio 2021

Il Comitato Scientifico di AISAC

---

<sup>2</sup> Al link qui sotto trovate i centri di diagnosi e cura - definiti formalmente presidi accreditati - individuati dalle Regioni, attraverso atti normativi, come strutture dedicate alla formulazione della diagnosi, all'erogazione delle prestazioni finalizzate al trattamento, alla prevenzione e alla sorveglianza delle malattie rare.

La banca dati contiene esclusivamente l'elenco dei presidi accreditati dalle Regioni per le malattie rare e i gruppi di malattie rare esenti dalla partecipazione al costo del ticket (riconosciute nell'allegato 7 del DPCM 12 gennaio 2017).

[https://www.malattierare.gov.it/centri\\_cura/ricerca](https://www.malattierare.gov.it/centri_cura/ricerca)