

## 3° Comunicato relativo al Voxzogo® (farmaco di BioMarin) approvato in data 27/8/2021 dall'EU e in attesa di essere messo in commercio in Italia.

A seguito dell'incontro dell'8/9/2021 con BioMarin e di una riunione del Comitato Scientifico di AISAC ricapitoliamo di seguito **le fasi e le tempistiche indicative** per la commercializzazione del Voxzogo® in Italia:

### NOVEMBRE 2021

Invio dossier  
alla commissione  
tecnico  
scientifica  
di AIFA

### GIUGNO/LUGLIO 2022

Inizio  
negoziazione per  
il prezzo con  
AIFA

### OTTOBRE 2022

Conclusa la  
negoziazione si deve  
attendere la  
pubblicazione  
in Gazzetta Ufficiale

### NOVEMBRE 2022

Il farmaco  
sarà inserito  
nei prontuari  
regionali

### FEBBRAIO/MARZO 2023

Il farmaco  
potrà essere  
prescritto dai  
principali centri di  
riferimento

Effettiva  
disponibilità in tutti  
i centri dispensatori  
sul territorio italiano

Relativamente invece alla imminente messa in commercio del farmaco in Germania e nei paesi nordici è importante ricordare - come è stato spiegato nell'incontro - **che in questi paesi non c'è un sistema sanitario nazionale che, come in Italia, si fa carico totalmente delle spese.**

Come già comunicato in data 28/5/2021 *nell'attesa, al momento attuale, nel tentativo di anticipare l'utilizzo di vosoritide, rispetto alle date previste di commercializzazione, esiste in Italia la possibilità di ricorrere alla legge 326/2003 che prevede l'accesso ad un Fondo Nazionale presso AIFA per l'impiego di farmaci orfani per il trattamento di malattie rare.*



L'UOMO È LA MISURA DI TUTTE LE COSE.

Ad oggi alcuni centri clinici di riferimento hanno fatto domanda per ottenere il farmaco attraverso la legge 326 ma sono in attesa di una risposta da parte di AIFA<sup>1</sup>

**Nelle prossime settimane e mesi AISAC lavorerà con tutti i soggetti coinvolti, su più fronti per:**

1. **Continuare a monitorare, attivare e valutare tutte le possibili opzioni di ottenimento del farmaco prima della commercializzazione** (L. 326/2003 – L.648/1996)
2. **Sensibilizzare le Istituzioni coinvolte nel processo di commercializzazione** attraverso azioni individuali associative e in concerto con gli altri soggetti interessati
3. **Coordinare i centri di riferimento coinvolti** affinché la rete ospedaliera sia pronta all'effettiva distribuzione di Voxzogo<sup>®</sup> in Italia.

Milano, 27 Settembre 2021

---

<sup>1</sup> *I limiti oggettivi di questo percorso sono rappresentati da:*

- *Disponibilità di risorse del fondo stesso.*
- *Disponibilità delle singole Aziende Ospedaliere e, più in generale, delle singole Regioni, ad anticipare la spesa del trattamento che, qualora autorizzata, verrà solo successivamente rimborsata alla stessa struttura erogante.*
- *Necessità di individuare un razionale sufficientemente convincente a supporto dell'urgenza di anticipo del trattamento proposto, inclusa la certificazione di mancanza di reale alternativa terapeutica (come da indicazioni di AIFA).*

*Pertanto, è prevedibile che, nella migliore delle ipotesi, il ricorso alla legge 326 potrebbe riguardare solo un numero estremamente limitato di pazienti per i quali l'attivazione del trattamento rappresenterebbe esclusivamente un anticipo di utilizzo di terapia rispetto a quando il farmaco stesso verrà sperabilmente messo in commercio.*