



REGIONE AUTÒNOMA DE SARDIGNA  
REGIONE AUTONOMA DELLA SARDEGNA

ASSESSORADU DE SIGIENE E SANIDADE E DE S'ASSISTÈNTZIA SOTZIALE  
ASSESSORATO DELL'IGIENE E SANITA' E DELL'ASSISTENZA SOCIALE

Direzione Generale della Sanità  
Servizio qualità dei servizi e governo clinico

## DETERMINAZIONE N. DEL

**Oggetto: Centri regionali autorizzati alla prescrizione del medicinale per uso umano KANUMA<sup>®</sup> (Sebelipasi alfa) per l'indicazione “*terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL) ad esordio precoce (entro il primo anno di vita) e a rapida progressione*”.**

- VISTO lo Statuto Speciale per la Regione Sardegna e le relative norme di attuazione;
- VISTO il Decreto Legislativo 30 dicembre 1992, n 502 “Riordino della disciplina in materia sanitaria a norma dell'art. 1 della legge 23 ottobre 1992, n. 421” e le successive modificazioni ed integrazioni;
- VISTA la Legge Regionale 28 luglio 2006, n 10 “Tutela della salute e riordino del servizio sanitario della Sardegna. Abrogazione della legge regionale 26 gennaio 1995, n. 5”;
- VISTA la Legge Regionale 17 novembre 2014, n 23 “Norme urgenti per la riforma del servizio Sanitario regionale. Modifiche alle leggi regionali n. 23 del 2005, n.10 del 2006 e n. 21 del 2012”;
- VISTA la Legge Regionale 27 luglio 2016, n. 17 “Istituzione dell'Azienda per la tutela della salute (ATS) e disposizioni di adeguamento dell'assetto istituzionale e organizzativo del servizio sanitario regionale. Modifiche alla legge regionale 28 luglio 2006, n. 10 (Tutela della salute e riordino del servizio sanitario della Sardegna. Abrogazione della legge regionale 26 gennaio 1995, n. 5) e alla legge regionale 17 novembre 2014, n. 23 (Norme urgenti per la riforma del sistema sanitario regionale);
- VISTO l'art. 48 del Decreto Legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito nella Legge 24 novembre 2003, n. 326, che istituisce l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA);
- VISTO il Decreto del Ministero della Salute di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e finanze in data 20 settembre 2004, n. 245 recante norme sull'organizzazione ed il funzionamento dell'Agenzia Italiana del farmaco;
- VISTO il Decreto del Ministero della Salute n. 53 del 29 marzo 2012 che modifica il regolamento e funzionamento dell'Agenzia Italiana del farmaco, in attuazione dell'art. 17, comma 10, del decreto Legge 6 luglio 2011, n. 98, convertito, con modificazioni dalla legge 15 luglio 2011, n. 11;



**REGIONE AUTÒNOMA DE SARDIGNA  
REGIONE AUTONOMA DELLA SARDEGNA**

ASSESSORADU DE S'IGIENE E SANIDADE E DE S'ASSISTÈNTZIA SOTZIALE  
ASSESSORATO DELL'IGIENE E SANITA' E DELL'ASSISTENZA SOCIALE

Direzione Generale della Sanità  
Servizio qualità dei servizi e governo clinico

- VISTO il Decreto Legislativo 24 aprile 2006, n. 219 e ss.mm.ii "Attuazione della direttiva 2001/83/CE (e successive direttive di modifica) relativa ad un codice comunitario concernente i medicinali per uso umano, nonché della direttiva 2003/94/CE";
- VISTA la Determinazione AIFA n. 2005 del 6.12.2017 "Regime di rimborsabilità e prezzo del medicinale per uso umano «Kanuma», pubblicata sulla GU n. 298 del 22.12.2017;
- PRESO ATTO che la Determinazione AIFA n. 2005/2017 dispone che, ai fini delle prescrizioni a carico del SSN, i centri utilizzatori devono essere specificatamente individuati dalle Regioni;
- RITENUTO di dover procedere alla identificazione dei Centri autorizzati alla prescrizione dei medicinali in oggetto;
- VISTA la Deliberazione della Giunta Regionale n. 26/15 del 6 maggio 2008, di approvazione della rete delle Malattie Rare;
- VISTA la Deliberazione della Giunta Regionale n. 44/35 del 22.09.2017 di aggiornamento dell'elenco dei centri della Rete Regionale delle Malattie Rare, che ha previsto i successivi aggiornamenti con Determinazione dirigenziale;
- PRESO ATTO della Determinazione n. 339 del 19.04.2018 di aggiornamento dei Centri della Rete Regionale delle Malattie Rare;
- VISTA la Legge Regionale n°31/98;
- VISTA la Legge Regionale 25 novembre 2014, n. 24 "Disposizioni urgenti in materia di organizzazione della Regione";
- VISTO il Decreto del Presidente della Giunta Regionale n. 111 del 5.12.2018 con il quale sono state conferite le funzioni di Direttore del Servizio qualità dei servizi e governo clinico alla Dott.ssa Donatella Garau;

**DETERMINA**

- ART. 1 di individuare quali centri autorizzati per la prescrizione del medicinale per uso umano KANUMA® (Sebelipasi alfa) per l'indicazione "*terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL) ad esordio precoce (entro il primo anno di vita) e a rapida progressione*", i centri della Rete Regionale delle Malattie Rare, di cui alla Determinazione n. 339 del 19.04.2018.



**REGIONE AUTÒNOMA DE SARDIGNA  
REGIONE AUTONOMA DELLA SARDEGNA**

ASSESSORADU DE S'IGIENE E SANIDADE E DE S'ASSISTÈNTZIA SOTZIALE  
ASSESSORATO DELL'IGIENE E SANITA' E DELL'ASSISTENZA SOCIALE

Direzione Generale della Sanità  
Servizio qualità dei servizi e governo clinico

ART. 2 per il monitoraggio e l'assistenza della malattia rara "Malattia di Wolman" identificata con codice RCG180, sono individuati quali centri le seguenti UU.OO:

AO Brotzu - P.O. Microcitemico

- Clinica Pediatrica Talassemie e Malattie Rare;
- Neurologia e Epilettologia;

AO Brotzu - P.O. San Michele

- Endocrinologia Pediatrica e centro Screening neonatali;
- S.C. Neurologia e Stroke unit;
- Neuropsichiatria dell'infanzia e dell'adolescenza;

AOU Sassari:

- Neurologia;
- Genetica Clinica;
- Neonatologia e Terapia intensiva neonatale;
- Istituto di Neuropsichiatria infantile;

AOU Cagliari:

- Neurologia.

ART. 3 I nuovi inserimenti o ridefinizioni dell'articolazione organizzativa dei Centri per le malattie rare saranno automaticamente recepiti come centri prescrittori del farmaco KANUMA® (Sebelipasi alfa).

ART. 4 Ai fini delle prescrizioni a carico del SSN, i Centri elencati nell'articolo 1, autorizzati per l'indicazione sopra riportata, devono compilare la scheda di raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili al trattamento e la scheda di follow-up applicando le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito istituzionale dell'Agenzia Italiana del Farmaco <http://www.agenziafarmaco.gov.it/registri>.

ART. 5 Nelle more della piena attuazione e funzionalità del registro di monitoraggio web-based, al fine di garantire l'immediato accesso al trattamento, le prescrizioni potranno essere effettuate anche su schede cartacee in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione



**REGIONE AUTÒNOMA DE SARDIGNA  
REGIONE AUTONOMA DELLA SARDEGNA**

ASSESSORADU DE S'IGIENE E SANIDADE E DE S'ASSISTÈNTZIA SOTZIALE  
ASSESSORATO DELL'IGIENE E SANITA' E DELL'ASSISTENZA SOCIALE

Direzione Generale della Sanità  
Servizio qualità dei servizi e governo clinico

consultabile sul portale istituzionale dell'AIFA  
<http://www.agenziafarmaco.gov.it/content/registri-farmaci-sottoposti-monitoraggio>.

ART. 6 Copia della presente Determinazione è trasmessa all'Assessore dell'Igiene e Sanità e Assistenza Sociale ai sensi dell'articolo 21 della L.R. 31/1998.

Cagliari,

**IL DIRETTORE DEL SERVIZIO**

Dott.ssa Donatella Garau

*(firmato digitalmente)*

*Firmato digitalmente da*

**DONATELLA  
GARAU (D)**